

Wiesław Jędrychowski

## KONCEPCJA MEDYCZYNY OPARTEJ NA DOWODACH NOWYM WYZWANIEM DLA EPIDEMIOLOGII I MEDYCZYNY ZAPOBIEGAWCZEJ

Katedra Epidemiologii i Medycyny Zapobiegawczej, Coll. Med. UJ

*W ostatnich dziesięciu latach medycyna oparta na dowodach (mod) stała się niezwykle popularna wśród klinicystów i epidemiologów jako narzędzie pozwalające na przeniesienie zdobyczy nauki na grunt praktyki lekarskiej. W pracy omówiono strategię postępowania mod w innych gałęziach medycyny takich jak medycyna zapobiegawcza i zdrowie publiczne. Wobec coraz silniej odczuwanej potrzeby wprowadzanie zasad mod w medycynie zapobiegawczej, byłoby rzeczą rozsądną przygotować do tego nowego wyzwania kadry medyczne, odpowiedzialne za zdrowie publiczne.*

### WPROWADZENIE

Poszukiwanie dowodów oraz tworzenie racjonalnych podstaw leczenia chorób ma tak długą historię jak sama medycyna, jednakże obecnie koncepcja „medycyny opartej na dowodach” (ang.: evidence-based medicine) nadaje szczególną rangę rzetelnym i udokumentowanym dowodom na rzecz skuteczności zabiegów leczniczych. W ostatnim dziesięcioleciu medycyna oparta na dowodach (mod) - stała się niezwykle popularna wśród klinicystów i epidemiologów jako instrument dobrze ułatwiający przeniesienie zdobyczy nauki na grunt praktyki lekarskiej. Wiele podstawowych zasad oraz metod badawczych właściwych dla epidemiologii okazało się bardzo użyteczne w tym zakresie.

Mod zrodzona przy łóżku chorego jest rozumiana jako „wnikliwe wykorzystanie najlepszych aktualnie dowodów dla podejmowania decyzji dotyczących opieki nad chorym” (1, 2). Uprawianie medycyny opartej na dowodach oznacza integrowanie indywidualnego doświadczenia klinicznego lekarza z dostępnymi aktualnie i opublikowanymi dowodami o najwyższej wartości naukowej. Dla określenia rangi naukowej tych dowodów stosuje się pewien formalny system klasyfikujący i hierarchizujący te dowody, który przypisuje największe znaczenie dużym losowym kontrolowanym eksperymentom klinicznym a mniejszą wartość badaniom obserwacyjnym lub nawet patofizjologii (tab. I).

Koncepcja medycyny opartej na dowodach jest w istocie bardzo prosta i składa się z następujących zadań:

- 1) sformułowanie problemu klinicznego (pytania);
- 2) przeszukanie piśmiennictwa w sposób bardzo staranny i szczegółowy na temat dowodów odnoszących się do danego problemu;
- 3) szybka ocena krytyczna dowodów dostępnych w piśmiennictwie;

Tab e l a I. Różnice paradygmatu tradycyjnej medycyny klinicznej w porównaniu z paradygmatem mod  
Paradigm differences in the traditional medicine and in the Evidence-based Medicine

<p><b>PARADYGMAT MEDYCYNY TRADYCYJNEJ</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Wiedza i własne doświadczenie kliniczne</li> <li>• Rodzawy patofizjologii</li> <li>• Tradycyjne szkolenie akademickie</li> <li>• Zdrowy rozsądek</li> <li>• Konsultacja oraz wiedza i doświadczenie kliniczne przekazanych i kolegów</li> </ul> <p><b>PARADYGMAT MOD</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Własne doświadczenie kliniczne</li> <li>• Rozumienie patomechanizmów chorobowych jest konieczne, ale niewystarczające dla podejmowania decyzji o leczeniu i wyborze strategii postępowania</li> <li>• Umiętność samodzielną oceny wartości merytorycznej dowodów naukowych</li> <li>• Lekarz ma za partnera raczej dorobek naukowy zgromadzony w piśmiennictwie medycznym niż uznane autorytety</li> <li>• Lekarze praktykujący mod osiągają lepsze efekty w opiece nad chorym</li> </ul>
--

4) synteza zebranych informacji i opracowanie wniosków końcowych pod kątem rozwiązania konkretnego problemu klinicznego.

Aby z powodzeniem uprawiać mod, należy posiadać następujące umiejętności:

- 1) doświadczenie (wiedzę) potrzebne dla sformułowania istotnych problemów (pytań) w taki sposób, aby można było uzyskać jednoznaczne odpowiedzi;
- 2) biegłość metodyczną w krytycznej ocenie wartości dowodów naukowych;
- 3) znajomość formalnych metod wydajnego przeszukiwania literatury pod kątem wyboru najtrafniejszych pozycji piśmiennictwa ważnych dla danego problemu klinicznego;
- 4) zastosowanie formalnych reguł oceny dowodów dostępnych z przeglądu literatury;
- 5) umiejętne spożytkowanie zebranych informacji dla optymalnej opieki nad chorym.

#### KONCEPCJA MOD W ZASTOSOWANIU DO MEDYCYNY ZAPOBIEGAWCZEJ

Strategia postępowania mod może mieć zastosowanie nie tylko w medycynie klinicznej, ale także w innych gałęziach medycyny takich jak medycyna zapobiegawcza, zdrowie publiczne czy pielęgniarstwo. W dziedzinie medycyny zapobiegawczej, paradygmat mod powinien znaleźć zastosowanie na różnych poziomach zapobiegania chorobom ostrym i przewlekłym oraz w promocji zdrowia (3-6).

Sposób wdrażania koncepcji mod w medycynie zapobiegawczej jest właściwie identyczny jak w praktyce klinicznej, nie mniej występują tutaj pewne różnice, o których warto wspomnieć. W medycynie zapobiegawczej akcent jest położony w pierwszym rzędzie na ocenę związku przyczynowo-skutkowego (np. palenie tytoniu i występowanie chorób tytoniozależnych) a następnie na określenie stopnia skuteczności działań zapobiegawczych (np. ocena różnych strategii zwalczania palenia tytoniu w populacji), (vide rycina 1).



Ryc. 1. Koncepcja mod w zastosowaniu do medycyny zapobiegawczej  
Fig. 1. Concept of Evidence-based Medicine applied to the prevention

Pierwsze zadanie medycyny zapobiegawczej różni się od klasycznego podejścia w systemowym przeszukiwaniu dowodów według klasycznej koncepcji mod, ponieważ w zdrowiu publicznym bardzo rzadko dysponujemy wynikami z losowych badań kontrolowanych. Z reguły mamy do dyspozycji wyniki badań obserwacyjnych (badania przekrojowe, retrospektywne lub kohortowe), które dostarczają słabszych dowodów. W ocenie dotyczącej wartości tych dowodów naukowych należy więc korzystać z formalnych rygorów i technik podsumowujących wyniki (meta-analiza), właściwych dla badań retrospektywnych i kohortowych (7-12). Wskaźniki ryzyka przypisanego, frakcji etiologicznej, ryzyka względnego wraz z ich przedziałami ufności, czy też wskaźnik nlops (niezbędna liczba osób z grupy poddanej interwencji dla wywołania poszukiwanego skutku profilaktycznego) są klasycznymi metodami oceny korzyści lub szkód zdrowotnych wynikających z zastosowania danej interwencji (1, 13). Biorąc pod uwagę niewielką liczbę losowych eksperymentów kontrolowanych w medycynie zapobiegawczej, metody quasi-eksperymentalne, które przestrzegają zasad porównywalności, muszą być coraz szerzej i odważniej stosowane.

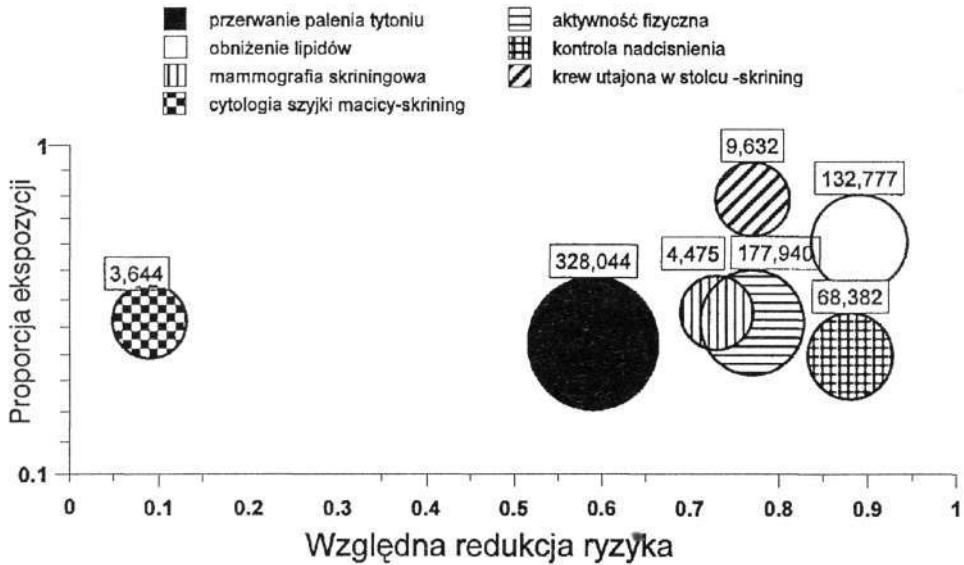
Trafność wewnętrzna badań nad skutecznością metod profilaktycznych bywa często poddawana w wątpliwość, ponieważ są one bardzo rzadko realizowane na podstawie „ślepej próby”, jak np. procedury dotyczące promocji zdrowia lub zabiegi profilaktyczne o charakterze nefarmakologicznym. W wielu przypadkach, dla oceny trafności diagnostyki choroby lub przy wartościowaniu poszczególnych zabiegów profilaktycznych brak jest też standardów referencyjnych i w zasadzie nie można stosować rutynowo procedur inwazyjnych (np. w badaniach nad łagodnym przerostem prostaty, lub zespołem bolesnego barku). Pewnym problemem może również być sprawa trafności zewnętrznej badań profilaktycznych. Są one z reguły wykonywane na jednorodnej populacji, czasami nawet wśród ochotników, a wyniki badania mają być odnoszone do populacji generalnej o różnej strukturze demograficznej, składającej się z osób o roz-

maitym statusie społeczno-ekonomicznym i kulturowym, o różnej podatności biologicznej, z osób całkowicie zdrowych i z takich, u których mogą występować jakieś choroby towarzyszące. Taka sytuacja sprawia, że interpretacja wyników badań nad skutecznością zabiegów profilaktycznych oraz ich ekstrapolacja na populację generalną jest bardzo trudna i niepewna.

Ponieważ siła dowodów naukowych na rzecz skuteczności interwencji profilaktycznych zwykle bywa słabsza niż w eksperymencie klinicznym, fakt ten musi rzutować w jakiejś mierze na sposób formułowania zaleceń profilaktycznych. Jest sprawą oczywistą, że mocny dowód naukowy na rzecz interwencji profilaktycznej ma bezpośrednie praktyczne znaczenie, nakazując jednoznacznie podjęcie takiej interwencji, ale słabszy dowód naukowy wcale przecież nie musi być ignorowany. Nawet podejrzenie szkodliwego działania jakiegoś czynnika - zwłaszcza wtedy jeśli działa on na ustrój przez długi okres, kumuluje się z czasem i prowadzi do nieodwracalnych skutków - powinien pociągać za sobą zastosowanie działań prewencyjnych. Trudno określić jak mocne powinno być to podejrzenie aby skłonić do działań interwencyjnych, ponieważ taka decyzja zależy od szeregu okoliczności. Stąd też, nie byłoby rzeczą rozsądną ustalanie sztywnych rygorów dotyczących formalizowania „poziomu merytorycznego dowodu”, poniżej którego żadne działania zapobiegawcze nie byłyby potrzebne (14).

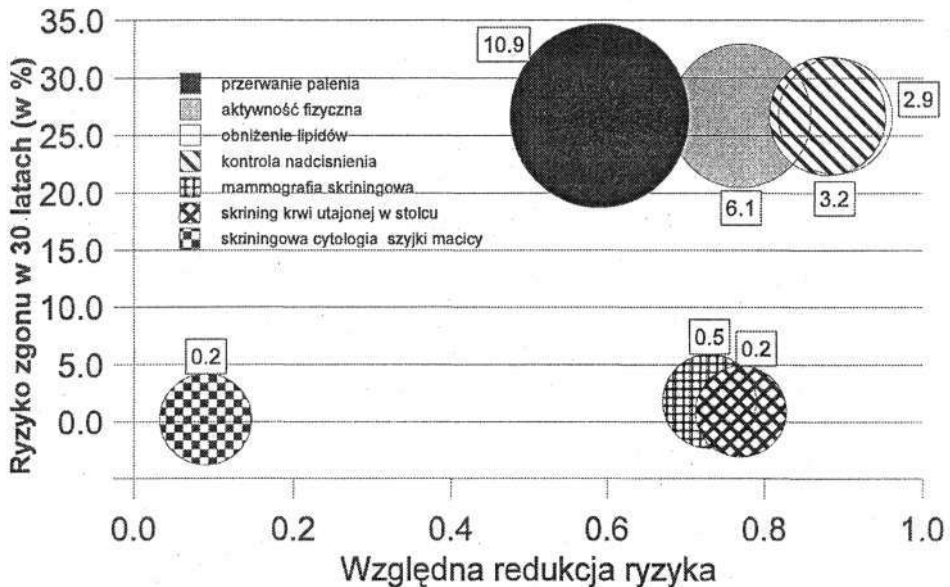
W medycynie zapobiegawczej silniej niż w praktyce klinicznej zachodzi potrzeba oceny porównawczej skuteczności różnych sposobów interwencji zapobiegawczych, które zmierzają do zwiększenia przeżywalności populacji, zapobiegania pojawieniu się choroby, jej nawrotów lub groźnych komplikacji. Ten rodzaj informacji ma podstawowe znaczenie dla formułowania priorytetów prewencyjnych. Systematyczny przegląd piśmiennictwa i meta-analiza wyników pochodzących z różnych badań, pozwalają na ilościową ocenę skutków działań zapobiegawczych w kategoriach częstości występowania określonych „punktów końcowych” (objaw/choroba/zgon) przed i po wprowadzeniu interwencji. Jednakże, dla formułowania priorytetów interwencji prewencyjnych, potrzebna byłaby raczej odwrotna perspektywa, tzn. należałoby wyjść z określonych punktów końcowych i porównywać różne strategie postępowania zapobiegawczego pod kątem ich efektywności. Niekiedy można usłyszeć opinię, że sprawa ocen porównawczych nie ma takiego dużego znaczenia, ponieważ wszystkie działania zapobiegawcze, które rokują korzyści zdrowotne, winny być wdrażane. Pogląd ten nie jest jednak zawsze słuszny, ponieważ pula środków będących w dyspozycji instytucji odpowiedzialnych za zdrowie publiczne prawie zawsze jest ograniczona i dlatego jest rzeczą zasadną postawić sobie pytanie, które działania są bardziej opłacalne i które z nich przyniosą więcej korzyści zdrowotnych w stosunku do zainwestowanych środków.

Znakomitym przykładem tego podejścia w porównawczej analizie skutków zdrowotnych w pierwotnej i wtórnej prewencji dla zapobiegania zgonom z różnych przyczyn, są dane zilustrowane na rycinach 2 i 3. W Stanach Zjednoczonych oszacowano przykładowo, że kampania antynikotynowa, promocja na rzecz bardziej aktywnego spędzania wolnego czasu, obniżenia poziomu cholesterolu o 10% i kontrolowanie nadciśnienia tętniczego doprowadziłyby do redukcji odpowiednio 328 000, 178 000, 133 000 i 69 000 zgonów rocznie. Natomiast badania przesiewowe w kierunku raka sutka, szyjki macicy i jelita grubego mogłyby zapobiec od 4 000 do 10 000 zgonów rocznie (15). Podobne szacunkowe porównania, ale przeprowadzone z perspektywy indywidualnych



Ryc. 2. Przewidywane zyski zdrowotne po wprowadzeniu interwencji - redukcja liczby zgonów w populacji jako wynik prewencji

Fig. 2. Expected health benefits after introduction of medical intervention. Reduction in number of deaths due to the prevention measured at the population level



Ryc. 3. Zmniejszenie ryzyka zgonu (w %) w okresie 30-tu lat z perspektywy 45-letniej kobiety (przy zastosowaniu interwencji)

Fig. 3. Reduction in relative risk of deaths (in %) in the period of 30 years (from a perspective of 45 years old woman) after choosing a given prevention measure

korzyści, będą bardziej pomocne dla podejmowanie osobistych decyzji przez pacjenta. Przypuśćmy, że 45-letniej kobiecie lekarz zaleca rzucenie palenia tytoniu, wykonywanie regularnie wysiłków fizycznych i przeprowadzanie badania mammograficznego. Można przypuszczać, że pacjentka uzna mammografię za zadanie priorytetowe dla siebie, ponieważ uważa, że wczesne wykrycie raka piersi uchroni ją przed przedwczesną śmiercią. Jak pokazano na rycinie 3, o wiele większe korzyści zdrowotne odniosłaby ona jednak z prewencji pierwotnej, ponieważ zaprzestanie palenia tytoniu i regularny wysiłek fizyczny zmniejszyłyby szacowane dla niej ryzyko zgonu w okresie następnych 30 lat ( tzn. w wieku 45 -75 lat) odpowiednio o około 11% i 6%. Obniżenie poziomu lipidów i kontrolowanie nadciśnienia łączyłoby się z podobnymi skutkami (15).

Często spotyka się debaty na temat różnicy pomiędzy teoretyczną skutecznością zabiegów profilaktycznych szacowaną na podstawie badań epidemiologicznych, a ich rzeczywistą efektywnością ustaloną w populacji generalnej. Trzeba jednak pamiętać, że efektywność zabiegów profilaktycznych w populacji zależy od szeregu dodatkowych czynników, takich jak np.: system ochrony zdrowia, uwarunkowania demograficzne i społeczno-ekonomiczno-kulturowe populacji. Uwarunkowania te w dużej mierze wyznaczają stopień rozumienia zagrożeń przez społeczeństwo oraz tolerowanie i akceptowanie zagrożeń dla zdrowia. Ponieważ strategicznym celem prewencji jest zmiana stylu życia i zachowań zdrowotnych dużych grup ludności, spodziewane wyniki są nie tylko funkcją społecznego kontekstu tych działań, ale zależą także od zagadnień natury etycznej (16). Wobec tego, że działania profilaktyczne nie odbywają się „w próżni”, ale wśród różnych grup społecznych, paradygmat mod zastosowany w medycynie zapobiegawczej winien uwzględniać fakt, że członkowie danej populacji są raczej czynnymi współtwórcami programu niż tylko biernymi konsumentami programów profilaktycznych. Rezultat końcowy interwencji profilaktycznych w kategoriach poprawy mierników zdrowotnych jest przecież produktem współpracy i wspólnych decyzji instytucji inicjujących akcje zapobiegawcze i społeczeństwa jako całości.

Często zapominamy, że zyski z działalności zapobiegawczej w większym stopniu niż przy leczeniu chorych zależą od umiejętności skutecznego komunikowania się lekarza z potencjalnymi odbiorcami tych usług. Oczywiście, nie chodzi tu tylko o poprawne zebranie wywiadu chorobowego, ale głównie o umiejętność prowadzenia rozmowy z pacjentem w taki sposób, aby można było nawiązać z nim kontakt intelektualny i emocjonalny, co stanowi podstawę dla wzajemnej współpracy. Nie będzie przesadą stwierdzenie, że skuteczność prewencji pierwotnej praktycznie zależy wyłącznie od umiejętności komunikowania się lekarza z pacjentem, ponieważ właśnie lekarz musi umiejętnie przekonać pacjenta i umotywić go do zmiany dotychczasowych zachowań np. rzucenia palenia tytoniu, zmiany diety, regularnego wysiłku fizycznego itd. (17).

Stwierdzić w końcu trzeba, że bez zasad medycyny opartej na dowodach nie jest możliwe ustalenie priorytetów badawczych w medycynie zapobiegawczej, zwłaszcza w zakresie lekarskiej opieki podstawowej (18). Najważniejszymi obszarami zainteresowania powinny być: promocja zdrowia, szczepienia ochronne, chemioprowfilaktyka i badania przesiewowe. Zadania o szczególnej wadze powinny dotyczyć:

- 1) wypracowania skutecznych i praktycznych metod socjotechnicznych możliwych do zastosowania w opiece podstawowej dla modyfikowania czynników ryzyka (np.

- palenia tytoniu, żywienia, wysiłku fizycznego, spożywania alkoholu, narkomanii czy ryzykownych zachowań seksualnych);
- 2) dopracowanie wytycznych dla optymalnej okresowości wykonywania badań przesiewowych lub porad konsultacyjnych o znaczeniu profilaktycznym;
  - 3) opracowanie praktycznych wskazówek dla skutecznego współdziałania lekarza z pacjentem przy podejmowaniu decyzji na temat zapobiegania, zwłaszcza w sytuacjach o niepewnych korzyściach;
  - 4) wypracowanie najbardziej czułych i skutecznych sposobów wyznaczania i określania grup ludności o zwiększonym ryzyku zachorowania, które mogą wymagać odmiennych metod postępowania profilaktycznego niż populacja przeciętna;
  - 5) rozwijanie metod analiz decyzyjnych i doskonalenie metod naliczania kosztów ekonomicznych oraz korzyści zdrowotnych dla wypracowania optymalnego modelu działań zapobiegawczych w praktyce lekarskiej.

Wobec coraz silniej odczuwanej potrzeby wprowadzania zasad mod w medycynie zapobiegawczej, byłoby rzeczą rozsądną przygotować do tego nowego wyzwania kadry medyczne, odpowiedzialne za zdrowie publiczne. W programach nauczania przeddyplomowego i podyplomowego studentów i lekarzy powinno się wprowadzić zajęcia instruujące o tej nowej koncepcji oraz uczyć ich prostych sposobów wdrożenia mod w praktyce.

Uczestnicy kursów mod powinni:

- 1) zrozumieć dobrze cele i zadania medycyny opartej na dowodach naukowych;
- 2) poznać etapy postępowania w oparciu o paradygmat MOD i umieć je praktycznie stosować w rozwiązywaniu problemów promocji zdrowia, a także w pierwotnej i wtórnej profilaktyce medycznej;
- 3) zapoznać się ze sposobami wykorzystania technik mod na różnych poziomach kształtowania polityki zdrowotnej.

Nie ulega wątpliwości, że w programowaniu i realizacji tych programów szkoleniowych wiodąca rola przypadnie epidemiologii.

*W Jędrzychowski*

## CONCEPT OF EVIDENCE-BASED MEDICINE A NEW CHALLENGE TO EPIDEMIOLOGY AND PREVENTIVE MEDICINE

### SUMMARY

In the last decade evidence-based medicine (EBM) has become popular between clinicians and epidemiologists as a tool to facilitate the translation of scientific research into clinical practice. The concept applicable to public health follows the same principles, but some additional aspects have to be considered. For example, in preventive medicine, there is the strong need to compare the relative effectiveness of various interventions in prolonging survival or preventing the occurrence or complications of a disease both at the population and at the individual level, since it is crucial for setting preventive priorities and health policy making. Traditionally, systematic reviews and meta-analyses quantify the effects of treatments on selected endpoints (health outcomes). However, in setting preventive priorities the reverse perspective is important. Moreover, the judgement about preventive action cannot be done without an adequate consideration of ethical and social context. In view of emerging evidence-based approach in preventive

medicine the teaching of evidence-based medicine to health professionals became a new challenge.

#### PIŚMIENNICTWO

1. Sacket DL, Rosenberg WMC, Muir Gray JA, Haynes RB, Richardson WS. Evidence based medicine: what it is and what it isn't. *BMJ* 1996; 312: 7172-4.
2. Sacket DL, Richardson WS, Rosenberg W, Haynes R. Evidence-based Medicine. How to practice & teach EBM. Churchill Livingstone, 1997.
3. Aveyard P. Evidence-based medicine and public health. *Journal of Evaluation in Clinical Practice* 1997; 3: 139-44.
4. Pomrehn PR, Davis MV, Chen DW, Barker W. Prevention for the 21st Century. Setting the Context through Undergraduate Medical Education. *Academic Medicine* 2000; 75: 5-13.
5. Rose G. The strategy of preventive medicine. Oxford University Press, Oxford 1992.
6. Pomrehn PR, Davis MV, Chen DW, Barker W. Prevention for the 21st Century. *Academic Medicine* 2000; 75: 5-13.
7. Eddy DM, Hasselblad V, Shachter R. Meta-Analysis by the Confidence Profile Method. Academic Press Inc. 1992.
8. Blettner M, Sauerbrei W, Schlehofer B, Scheuchenpflug T, Friedenreich C. Traditional reviews, meta-analyses and pooled analysis in epidemiology. *Int J Epidemiol* 1999; 28: 1-9.
9. Greenland S. Quantitative methods in the review of epidemiologic literature. *Epidem Rev* 1987; 9: 1-30.
10. Martin DO, Austin H. An exact method for meta-analysis of case-control and follow-up studies. *Epidemiology* 2000; 11: 255-360.
11. Petitti DB. Meta-analysis, decision analysis, and cost-effectiveness. *Methods for Quantitative Synthesis in Medicine*. 2nd ed. Oxford University Press, 2000.
12. Weed DL. Interpreting epidemiologic evidence: how meta-analysis and causal inference methods are related. *Int J Epidemiol* 2000; 29: 387-90.
13. Jędrychowski W. *Epidemiologia. Wprowadzenie i Metody*. PZWL, Warszawa, 1999.
14. Vineis P. Evidence-based primary prevention. *Proceedings of the Conference on Challenges to Epidemiology in Changing Europe*. Kraków, 1999; 201-11.
15. Woolf SH. The need for perspective in evidence-based medicine. *JAMA* 1999; 282: 2358-65.
16. Kerrige I, Lowe M, Henry D. Ethics and evidence based medicine. *BMJ* 1998; 316: 1151-3.
17. Dube CE, O'Donnel JF, Novack DH. Communication skills for preventive interventions. *Academic Medicine* 2000; 75: 45-54.
18. Atkins D, DiGiuseppe CG. Broadening the evidence base for evidence-based guidelines. A research agenda based on the work of the U.S. Preventive Services Task Force. *American Journal of Preventive Medicine* 1998; 14: 335-44.

#### **Adres autora:**

Wiesław Jędrychowski  
Katedra Epidemiologii i Medycyny Zapobiegawczej  
Collegium Medicum UJ  
ul. Kopernika 7 A  
31-034 Kraków