

ANTTI MALMIVAARA

LKT, professori, ylilääkäri
THL, Terveys- ja sosiaalitalouden
yksikkö
antti.malmivaara@thl.fi

Terveydenhuollon vaikuttavuuden arviointi ja edistäminen: optimaalisesti lääketiedettä

- Vaikuttavuustietoa saadaan satunnaistetuilla tai vertaiskontrolloiduilla kokeilla. Vaikuttavuustutkimuksia voidaan arvioida ns. benchmarking-menetelmällä.
- Kattava kuvaus potilaiden ominaisuuksista, toteutuneista interventioista ja tuloksista on välttämätön, jotta klinikko voi arvioida tulosten yleistettävyyttä.
- Lääketieteelliseen osaamiseen ja hyvään vuorovaikutukseen perustuva informaatio, ohjaus ja tuki sekä toimintakyvyn edistäminen ovat vaikuttavia interventioita, joita voidaan aina käyttää potilaan hoidossa.

KIRJALLISUUTTA

- 1 Berwick DM, Nolan TW, Whittington J. The triple aim: care, health, and cost. *Health Aff (Millwood)* 2008;27:759–69.
- 2 Porter ME. A strategy for health care reform—toward a value-based system. *N Engl J Med* 2009;361:109–12.
- 3 Institute of Medicine (US) Committee on the National Quality Report on Health Care Delivery 2001.
- 4 Malmivaara A. Clinical impact research - how to choose experimental or observational intervention study? *Ann Med* 2016;48:492–5.

Terveydenhuollon tehtävä on tuottaa väestölle terveyttä ja hyvinvointia. Interventioilla eli väliintuloilla pyritään sairauksien ehkäisemiseen, jo ilmenneiden sairauksien parantamiseen tai oireiden lievittämiseen ja toimintakyvyn edistämiseen. Interventioiden oikeutus on vaikuttavuudessa: sen tulee olla suurempi kuin toimenpiteistä aiheutuvat haitat ja viisaassa suhteessa interventioihin sijoitettuihin resursseihin. Niinpä interventioiden vaikuttavuuden arviointi ja edistäminen ovat terveydenhuollon kulmakiviä. Tämän artikkelin tavoitteena on kuvata ja pohdita vaikuttavuuden arviointiin ja optimointiin liittyviä kysymyksiä.

miin arvannon perusteella ja ryhmistä tulee yleensä samankaltaisia. Vertaiskontrolloidussa kokeessa ryhmien erot vakioidaan tilastollisin menetelmin ja arjen vaikuttavuutta arvioitaessa vertaillaan samanlaisia potilaita hoitavia yksikköjä.

Kliinisen vaikuttavuuden arvioiminen

Kliinisen vaikuttavuustutkimuksen kohteena ovat yleensä yksittäisen intervention vaikuttavuus, turvallisuus ja kustannusvaikuttavuus (clinical impact research) (4). Satunnaistetut tutkimukset ovat ensisijainen valinta tutkimusmenetelmäksi. Joskus kuitenkin vertaiskontrolloitu koe voi olla rinnakkainen tai jopa ainoa vaihtoehto, kuten satunnaistamisen ollessa eettisistä syistä mahdotonta tai potilasryhmien ollessa hyvin heterogeenisiä. Esimerkiksi CP-vammat ovat yksilöllisiä ja käytettävät hoitomenetelmät vaihtelevat yksilöittäin, ja tällöin vertaiskontrolloitu koe saattaa olla paras tutkimusmenetelmä (12).

Hoitoketjujen vaikuttavuutta ja kustannuksia selvittäessä vertaiskontrolloitu koe on ensisijainen menetelmä. Satunnaistettu tutkimus on periaatteessa mahdollinen, mutta edellyttää ryhmäsaturunnaistettua koeasetelmaa, jossa arvotaan hoitoyksiköitä noudattamaan ennalta määrättyjä hoitoketjuja.

Vertaiskehittämisessä vertaiskontrolloitu koe on ainoa käytettävissä oleva tutkimusmenetelmä.

Biologinen vai arjen vaikuttavuus?

Jos tutkimuksen tavoitteena on selvittää intervention biologinen (lääkemolekyylin tai lääke-

Interventioiden oikeutus on vaikuttavuudessa.

Terveydenhuollon päätavoitteet ovat sairauksien ehkäisyn, hoidon ja kuntoutuksen saavuttavuus, lääketieteellinen ja potilaan kokema laatu, yhdenvertaisuus, vaikuttavuus, turvallisuus ja kustannusvaikuttavuus (1–4). Nämä kuusi tavoitetta ovat riippuvuussuhteessa toisiinsa. Esimerkiksi hoidon lääketieteellinen laatu on edellytys vaikuttavuudelle, turvallisuudelle ja kustannusvaikuttavuudelle.

Tieteellistä vaikuttavuustietoa saadaan joko satunnaistetuilla kontrolloiduilla kokeilla (randomised controlled trial, RCT) tai havainnointiin perustuvilla vertaiskontrolloiduilla kokeilla (benchmarking controlled trial, BCT) (4–11). Satunnaistetussa kokeessa potilaat päätyvät tutkimusryh-

LIITEINEISTO
pdf-versiossa
www.laakarilehti.fi

Sisällysluettelot
SLL 37/2019



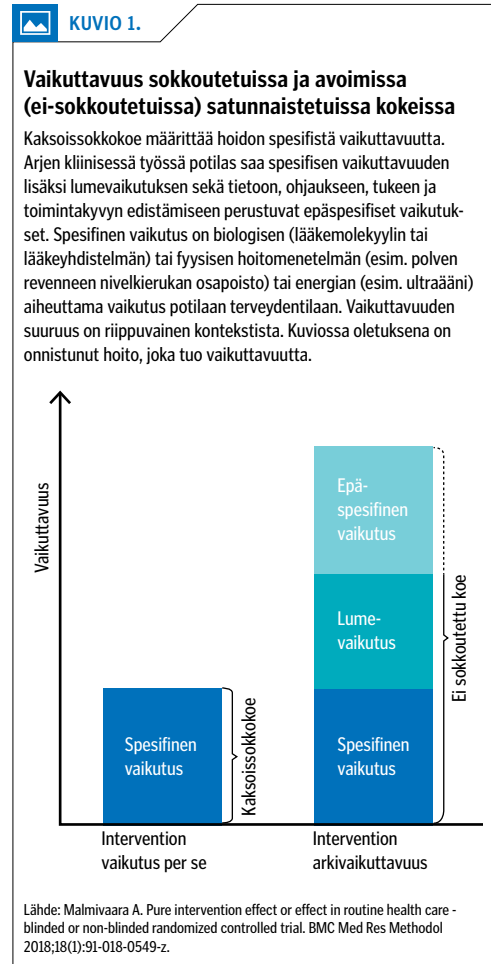
- 5 Malmivaara A. System impact research - increasing public health and health care system performance. *Ann Med* 2016;48:211–5.
- 6 Moher D, Hopewell S, Schulz KF ym. CONSORT 2010 explanation and elaboration: updated guidelines for reporting parallel group randomised trials. *BMJ* 2010;340:c869.
- 7 Vandembroucke JP. Observational research, randomised trials, and two views of medical science. *PLoS Med* 2008;5(3):e67.
- 8 Schulz KF, Altman DG, Moher D, CONSORT Group. CONSORT 2010 statement: updated guidelines for reporting parallel group randomised trials. *Ann Intern Med* 2010;152:726–32.
- 9 Klazinga N, Li L. Comparing health services outcomes. Kirjassa: Papanicolaos I, Smith P, toim. Health system performance comparison. An agenda for policy, information and research, 1. painos. England: Open University Press, McGraw-Hill Education 2013:157–83.
- 10 Klazinga N, Fischer C, ten Asbroek A. Health services research related to performance indicators and benchmarking in Europe. *J Health Serv Res Policy* 2011;16 suppl 2:38–47.
- 11 van den Berg MJ, Kringos DS, Marks LK, Klazinga NS. The Dutch health care performance report: seven years of health care performance assessment in the Netherlands. *Health Res Policy Syst* 2014;12(1):1-4505-12-1.
- 12 Anttila H, Autti-Ramo I, Suoranta J, Makela M, Malmivaara A. Effectiveness of physical therapy interventions for children with cerebral palsy: a systematic review. *BMC Pediatr* 2008;8:14-2431-8-14.
- 13 Hakala M, Malmivaara A, Eskelinen J ym. Kuntoutusosaston perustamisen vaikutus lonkkamurtumien hoitotuloksiin. *Suom Lääkäril* 2014;69:319–22.
- 14 Malmivaara A. Validity and generalizability of findings of randomized controlled trials on arthroscopic partial meniscectomy of the knee. *Scand J Med Sci Sports* 2018;28:1970–81.
- 15 Mendes D, Alves C, Batel-Marques F. Number needed to treat (NNT) in clinical literature: an appraisal. *BMC Med* 2017;15(1):112-017-0875-8.
- 16 Isometsä E. Masennuslääkkeiden hyödyt ja haitat depression hoidossa. *Suom Lääkäril* 2017;72:1927–32.
- 17 Malmivaara A. Assessing validity of observational intervention studies - the Benchmarking Controlled Trials. *Ann Med* 2016;48:440–3.
- 18 Malmivaara A. Assessing the effectiveness of rehabilitation and optimizing effectiveness in routine clinical work. *J Rehabil Med* 2018;50:849–51.

yhdistelmän aiheuttama) tai fyysikaalinen (esim. fyysisen rakenteen kirurgisen muutoksen tai sähkömagneettisen energian aiheuttama) vaikuttavuus erillään muista vaikuttavuutta tuottavista tekijöistä, on kaksoissokkoasetelma välttämätön (kuvio 1).

Kaksoissokkoutettujen kokeiden rajoituksena on, että ne eivät huomioi hoitotapahtumaan liittyvää lumevaikutusta. Niiden tuottama vaikuttavuustieto ilmenee siis vain kokeissa eikä vaikuttavuus ole samansuuruinen terveydenhuollon arjessa (14). Kaksoissokkokokeiden vaikuttavuuslukuihin tuleekin suhtautua varovaisuudella, mukaan lukien number needed to treat- eli NNT-luvut sekä arviot kustannusvaikuttavuudesta tai kustannusutiliteetista (euroa laatupainotteista elinvuotta kohden) (14). Meta-analyysien tuottamiin NNT-lukuihin liittyy epävarmuutta myös sen vuoksi, että jopa yli puolessa meta-analyyseistä ei ole noudatettu NNT-lukujen määrittämisen peruseriaa (15).

Kliinisessä työssä kysymyksenasetteluna on, saako potilas hoitoa vai eikö saa, esimerkiksi depressiota sairastava masennuslääkettä. Mikäli potilas saa lääkkeen, hän saa sekä biologisen vaikutuksen että lumevaikutuksen (kuvio 1). Mikäli potilas ei saa lääkettä, hän menettää sekä biologisen vaikutuksen että lumevaikutuksen (16). Tämä vaikuttavuus on selvitettävissä ainoastaan avoimessa, ei-sokkoutetussa asetelmassa, jossa sekä potilas että lääkäri ovat tietoisia hoidon sisällöstä. Tämän tutkimusasetelma ei huomioi vaikuttavuutta, jonka potilas saa vuorovaikutuksesta lääkärin ja muiden terveydenhuollon ammattilaisten kanssa informaation, tuen ja toimintakyvyn edistämisen kautta.

Kuvio 1 ilmentää mitä tahansa hoitotapahtumaa, jossa hoidon aihe ja henkilöstön osaaminen ovat samat sokkoutetussa ja ei-sokkoutetussa asetelmassa. Kyse on eri asiasta kuin arvioitaessa hoidon vaikuttavuutta tavanomaisissa olosuhteissa (engl. effectiveness) verrattuna vaikuttavuuteen ideaaliolosuhteissa (engl. efficacy). Ideaaliolosuhteissa toteutetuissa satunnaistetuissa tutkimuksissa potilaat on tarkoin valikoitu ja hoito on toteutettu parhaalla osaamisella. Tavanomaisissa olosuhteissa toteutetussa, ns. pragmaattisissa satunnaistetuissa tutkimuksissa potilaita ei valikoida ja hoito toteutetaan tavanomaisen osaamisen olosuhteissa. Tällöin



vaikuttavuus on luonnollisesti vähäisempi kuin ihanneolosuhteissa toteutetuissa tutkimuksissa.

Tilastollinen merkitsevyys ja kliininen merkittävyys

Jotta intervention vaikuttavuus tulee osoitetuksi, tutkimustulosten pitää olla tilastollisesti merkitseviä. Kliinisen päätöksenteon kannalta on tärkeää, onko vaikuttavuus niin suuri, että potilas voi havaita tilansa kohentuneen, jolloin kyse on kliinisesti merkittävästä vaikuttavuudesta.

Usein satunnaistettujen tutkimusten kliinisesti merkittävä vaikuttavuus arvioidaan vertailtavien ryhmien keskimääräisen vaikuttavuuseron perusteella (14). Tärkeämpää on kuitenkin tieto siitä, kuinka suuri osa hoitoryhmän poti-

- 19 Shea BJ, Reeves BC, Wells G ym. AMSTAR 2: a critical appraisal tool for systematic reviews that include randomised or non-randomised studies of healthcare interventions, or both. *BMJ* 2017;358:j4008.
- 20 Malmivaara A. Generalizability of findings from randomized controlled trials is limited in the leading general medical journals. *J Clin Epidemiol* 2019;107:36–41.
- 21 Malmivaara A. Benchmarking Controlled Trial - a novel concept covering all observational effectiveness studies. *Ann Med* 2015;47:332–40.
- 22 Malmivaara A. Pure intervention effect or effect in routine health care - blinded or non-blinded randomized controlled trial. *BMC Med Res Methodol* 2018;18(1):91-018-0549-z.
- 23 Malmivaara A. On decreasing inequality in health care in a cost-effective way. *BMC Health Serv Res* 2014;14:79-6963-14-79.
- 24 Tugwell P, Maxwell L, Welch V ym. Is health equity considered in systematic reviews of the Cochrane musculoskeletal group? *Arthritis Rheum-Arthritis Care Res* 2008;59:1603–10.

Potilaiden ja interventioiden kuvaus on satunnaistetuissa tutkimuksissa usein puutteellista.

- 25 O'Neill J, Tabish H, Welch V ym. Applying an equity lens to interventions: using PROGRESS ensures consideration of socially stratifying factors to illuminate inequities in health. *J Clin Epidemiol* 2014;67:56–64.
- 26 Dans AM, Dans L, Oxman AD ym. Assessing equity in clinical practice guidelines. *J Clin Epidemiol* 2007;60:540–6.
- 27 Tugwell P, Petticrew M, Robinson V, Kristjansson E, Maxwell L, Cochrane Equity Field Editorial Team. Cochrane and Campbell Collaborations, and health equity. *Lancet* 2006;367:1128–30.
- 28 Welch V, Petticrew M, Tugwell P ym. PRISMA-Equity 2012 Extension: Reporting guidelines for systematic reviews with a focus on health equity. *PLoS Med* 2012;9(10):e1001333.
- 29 AGREE Collaboration. Development and validation of an international appraisal instrument for assessing the quality of clinical practice guidelines: the AGREE project. *Qual Saf Health Care* 2003;12:18–23.

laista saavutti kliinisesti merkittävän hyödyn vertailuryhmän potilasiin verrattuna. Esimerkiksi jos intensiivinen selkäpotilaan kuntoutus vähentää kivun kokemusta 60 %:lla potilaista ja omatoiminen harjoittelu 50 %:lla potilaista, 10 prosenttiyksikköä potilaista saa kuntoutuksesta hyödyn verrattuna omatoimiseen harjoitteluun. Tällöin 10 potilaan kuntoutuksella saadaan apu yhdelle.

Onko vaikuttavuustieto luotettavaa ja yleistettävää?

Satunnaistetun kokeen tärkeimmät pätevyyskriteerit ovat 1) potilasryhmien vertailukelpoisuus alkutilanteessa (satunnaistamisen tavoite), 2) ryhmien väliset erot interventioissa seurannan aikana (syytekijä) sekä 3) tuloksen luotettava mittaaminen (tulostittarin pätevyys ja seurantakadon vähäisyys). Vertaiskontrolloiduissa kokeissa on huomioitava näiden kriteerien lisäksi kolme muuta tuloksiin vaikuttavaa tekijää: potilaiden valikoituminen hoitopaikkaan sekä mahdolliset erot hoitojärjestelmissä ja henkilöstön osaamisessa (14,17,18).

Vaikuttavuustiedon yleistettävyyden arviointi perustuu tietoon potilaiden, tutkittavan intervention ja vertailuintervention sekä tulostittarien ominaisuuksista (PICO: patient, intervention, control intervention, outcome) (6,19). Tutkimuksen menetelmäosasta tulee selvittää tutkimuspotilaiden mukaanotto- ja poissulkukriteerit sekä intervention ja vertailuintervention ja käytettyjen tulostittarien sisältö. Tärkeintä tutkimuksen yleistettävyyden arvioinnissa on kuitenkin tieto kokeen toteutumisesta: potilaiden valikoituminen ja ominaisuudet sekä interventioiden, vertailuinterventioiden ja muiden interventioiden toteutuminen tutkimuksen aikana. Potilaiden liitännäissairaudet sekä elintavat, ympäristö ja erityisesti sosioekonomiseen eriarvoisuuteen liittyvät tekijät ovat yleensä tärkeitä tutkimustulosten yleistettävyyttä arvioitaessa (20). Valitettavasti potilaiden ja interventioiden kuvaus on johtavienkin lääketieteen lehtien julkaisemissa satunnaistetuissa tutkimuksissa puutteellista (20).

Havainnoivassa vaikuttavuustutkimuksessa on erityinen tarve dokumentoida tarkasti tutkimuksen toteutuminen, ja tätä dokumentoinnin ohjeistoa voidaan hyödyntää myös satunnaistetuissa kokeissa (21). Benchmarking-menetelmä (taulukko 1) kattaa tutkimuskysymyksen ja sen toteutumisen sekä tutkimuksen pätevyuden ja yleistettävyyden arvioinnit kaikissa vaikuttavuutta arvioivissa tutkimustyypeissä (20).

Erityisen huolellinen yleistettävyyden arvioinnissa tulee olla silloin, kun näyttää siltä, että vaikiintuneella hoidolla ei ole lainkaan vaikuttavuutta. Vaikuttamattomuuden osoittaminen edellyttää edustavia ja erinomaisesti kuvattuja aineistoja. Lisäksi tulokset pitää tulkita toteutuneen kokeen mukaan. Esimerkiksi jos kirurgian satunnaistetussa tutkimuksessa 20–35 % konservatiiviseen ryhmään satunnaistetuista leikataan seuranta-aikana, ei ole enää tutkittu kirurgian vaikuttavuutta sinänsä, vaan vaikuttavuutta tilanteessa, jossa vertailuryhmässä on leikattu pitkittyneesti oireilevat potilaat (14,22).

Satunnaistetuista tutkimuksista suljetaan usein pois haavoittuviin ryhmiin kuuluvat potilaat (23–27). Ainoastaan 1 %:ssa järjestelmällisistä Cochrane-katsauksista on arvioitu erikseen vaikuttavuutta sosioekonomisissa tai demografisissa alaryhmissä (28). Satunnaistettujen tutkimusten raportoinnin kansainväliset suositukset eivät käsittele eriarvoisuutta (6). Hoitosuositukset eivät huomioi haavoittuvassa asemassa olevia potilasryhmiä hoitojen vaikuttavuutta ja turvallisuutta arvioitaessa, eikä hoitosuositusten arviointimenetelmä AGREE mainitse näitä potilasryhmiä (29). Vuonna 2012 on kuitenkin julkaistu suositukset eriarvoisuuden huomioimisesta järjestelmällisissä katsauksissa (28).

Terveydenhuoltojärjestelmän vaikuttavuuden arviointi

Järjestelmäpaktitutkimuksen (system impact research) kohteina ovat terveydenhuollon ja kansanterveystyön järjestelmien ominaisuudet, kuten rahoitus, korvaus- ja kannustinjärjestelmät, organisointi, säädökset, käytettävissä olevat voimavarat ja muut järjestelmän piirteet yksittäisen potilaan hoidon vaikuttavuuteen vaikuttavina tekijöinä (5,30). Esimerkiksi Lahdessa tehtiin vuonna 2006 järjestelmään sellainen muutos, että lahtelaiset lonkkamurtumapotilaat saavat keskussairaalan leikkaushoidon jälkeen

ortogeriatrisen kuntoutuksen kaupunginsairaalassa. Uuden järjestelmän on todettu lisäävän hoidon vaikuttavuutta ja vähentävän terveydenhuollon kustannuksia (13).

Onnistunut vuorovaikutus on tärkeä osa hyvää vaikuttavuutta.

- 30 Papanicolas I, Smith PC. International comparisons of health systems. Kirjassa: Papanicolas I, Smith PC, toim. Health system performance comparison. An agenda for policy, information and research, 1. painos. England: Open University Press, McGraw-Hill Education 2013:75–112.
- 31 Frieden TR. A framework for public health action: the health impact pyramid. *Am J Public Health* 2010;100:590–5.
- 32 Frieden TR. Shattuck Lecture: The future of public health. *N Engl J Med* 2015;373:1748–54.
- 33 Campbell MK, Piaggio G, Elbourne DR, Altman DG, CONSORT Group. Consort 2010 statement: extension to cluster randomised trials. *BMJ* 2012;345:e5661.
- 34 Thorlund JB, Juhl CB, Roos EM, Lohmander LS. Arthroscopic surgery for degenerative knee: systematic review and meta-analysis of benefits and harms. *Br J Sports Med* 2015;49:1229–35.
- 35 Kristensen FB, Lampe K, Wild C, Cerbo M, Goettsch W, Becla L. The HTA Core Model((R)) - 10 years of developing an international framework to share multidimensional value assessment. *Value Health* 2017;20:244–50.
- 36 Lampe K, Makela M, Garrido MV ym. The HTA core model: a novel method for producing and reporting health technology assessments. *Int J Technol Assess Health Care* 2009;25 suppl 2:9–20.
- 37 Saarni SE, Anttila H, Saarni SI, Ikonen TS, Malmivaara A. Lihavuusleikkauksen vaikutukset psyykkiseen ja sosiaaliseen hyvinvointiin. *Duodecim* 2009;125:2287–94.
- 38 Melamed A, Rauh-Hain JA, Schorge JO. Clinical outcomes research in gynecologic oncology. *Gynecol Oncol* 2017;146:653–60.
- 39 Forsythe L, Heckert A, Margolis MK, Schrandt S, Frank L. Methods and impact of engagement in research, from theory to practice and back again: early findings from the Patient-Centered Outcomes Research Institute. *Qual Life Res* 2018;27:17–31.

Kansanterveystyön luokittelussa voidaan käyttää viitekehystä, jonka mukaan interventioiden vaikutus väestötasolla on sitä suurempi, mitä enemmän toimenpiteet kohdistuvat järjestelmätasoon, kuten ympäristön muuttamiseen (esim. ravintolatuotannon kieltäminen) ja köyhyyden vähentämiseen (31,32).

Terveydenhuoltojärjestelmään kohdistuvan intervention vaikuttavuutta voidaan tutkia parhaiten vertaiskontrolloiduilla kokeilla. Vaihtoehtona ovat ryhmäsatunnaistetut kontrolloidut kokeet, mutta ne vaativat huomattavia voimavaroja, kokeiden toteutettavuus on haasteellista ja tiedon yleistettävyyks voi jäädä heikoksi (5,33).

Järjestelmälliset katsaukset ja terveydenhuollon menetelmien arviointi

Järjestelmälliset katsaukset pyrkivät tuottamaan ajankohtaisen tiedon vaikuttavuusnäytöstä. Kattava kuvaus potilaiden ominaisuuksista, interventioista (ja kuinka ne toteutuivat tutkimuksessa) sekä tuloksista on välttämätön arvioitaessa tulosten sovellettavuutta kliiniseen työhön.

Järjestelmällisten katsausten ja meta-analyysien tärkeimmät pätevyyskriteerit ovat 1) kattava kuvaus alkuperäistutkimusten potilasaineistoista, interventioiden toteutumisesta sekä hoidon tuloksista, 2) ainoastaan samaan kliiniseen kysymykseen vastanneiden tutkimusten sisällyttäminen näytön arviointiin ja meta-analyysiin, 3) päätulosten ja katsauksen päätelmien perustaminen luotettavuudeltaan parhaisiin tutkimuksiin ja 4) julkaisuharhan riskin huomioiminen.

Johtavissakin lääketieteellisissä lehdissä julkaistaan meta-analyysyjä, joihin sisällytetään kaikki järjestelmälliseen katsaukseen mukaan otetut satunnaistetut tutkimukset riippumatta siitä, ovatko ne vastanneet samaan tutkimuskysymykseen ja mikä niiden tieteellinen luotettavuus on ollut (34). Lopputuloksena voi olla meta-analyysi, jossa kaikki satunnaistetut tutki-

mukset ovat selvittäneet eri asioita (14). Järjestelmälliselle katsaukselle ja meta-analyysille tulee asettaa perusvaatimukseksi, että alkuperäistutkimusten kuvaus on kattava (14).

Terveydenhuollon menetelmien arviointitutkimukset (health technology assessment) nojautuvat vaikuttavuutta arvioidessaan järjestelmällisiin katsauksiin, mutta kysymyksenasettelu on usein laajempi: turvallisuus, kustannusvaikuttavuus sekä eettiset ja terveydenhuoltojärjestelmään liittyvät kysymykset (35,36). Laadullisilla tutkimusasetelmilla lisätään ymmärrystä potilaiden kokemuksista (37).

Hoitojen vaikuttavuutta terveydenhuollon keskeisenä tavoitteena on korostanut myös tutkimussuuntaus, jossa kohteena on prosessin tuottama lopputulos (outcomes research) (38,39). Potilaiden kokemusta (patient reported outcomes measures) pidetään keskeisinä (39). Henkilökohtainen lääketiede (personalised medicine, precision medicine) pyrkii hoidon yksilöllistämiseen (40,41).

Yleiskatsaukset järjestelmällisistä katsauksista pyrkivät koostamaan näytön kaikista tiettyyn kliiniseen kysymykseen vastaavista järjestelmällisistä katsauksista (18). Koska tutkimuksen kohteena ovat järjestelmälliset katsaukset eivätkä alkuperäistutkimukset, ei järjestelmällisistä katsauksista laadituissa yleiskatsauksissa pidä ryhtyä vaikuttavuuden tilastollisiin analyysiin.

Miten optimoidaan hoidon ja kuntoutuksen vaikuttavuus?

Kansainvälisen asiantuntijaryhmän määritelmän mukaan terveys on yksilön kykyä sopeutua ja korjata fyysiseen, psyykkiseen tai sosiaaliseen haittaan liittyvät häiriöt (42). Määritelmä painottaa päivittäisissä toimissa ja yhteisössä selviytymisen merkitystä.

Terveydenhuollon arvo luodaan potilaan ja hoitavien henkilöiden vuorovaikutuksessa. Tähän vuorovaikutukseen ja arvon luomiseen osallistuvat kaikki potilaan ja hänen omaistensa kanssa tekemisissä olevat terveydenhuollon ammattilaiset läpi koko hoitoketjun (18).

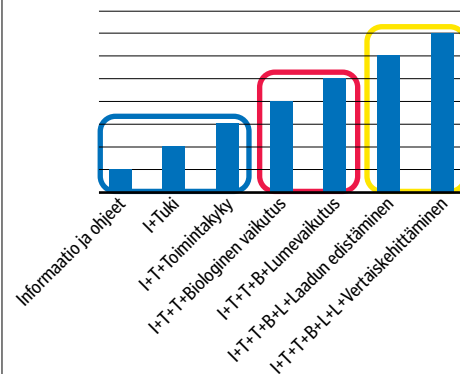
Lähtökohtana potilaan auttamisessa on diagnoosin ja muiden potilaan tilaan ja ennusteen vaikuttavien tekijöiden sekä hoitovaihtoehtojen arviointi. Tämän vuorovaikutuksen pohjalta potilas saa näyttöön perustuvaa tietoa taudin tai tilan syistä ja ennusteesta sekä ohjeita, miten toimia, jotta oireet lievittyisivät ja toipu-

- 40 Schork NJ. Personalized medicine: Time for one-person trials. *Nature* 2015;520:609–11.
- 41 Collins FS, Varmus H. A new initiative on precision medicine. *N Engl J Med* 2015;372:793–5.
- 42 Huber M, Knottnerus JA, Green L ym. How should we define health? *BMJ* 2011;343:d4163.
- 43 Schwarzer R, Lippke S, Luszczynska A. Mechanisms of health behavior change in persons with chronic illness or disability: the Health Action Process Approach (HAPA). *Rehabil Psychol* 2011;56:161–70.
- 44 Denis F, Lethrosne C, Pourel N ym. Randomized trial comparing a web-mediated follow-up with routine surveillance in lung cancer patients. *J Natl Cancer Inst* 2017;109:10.1093/jnci/djx029.
- 45 Wechsler ME, Kelley JM, Boyd IO ym. Active albuterol or placebo, sham acupuncture, or no intervention in asthma. *N Engl J Med* 2011;365:119–26.
- 46 Veerus P, Fischer K, Hakama M, Hemminki E, EPHT Trial. Results from a blind and a non-blind randomised trial run in parallel: experience from the Estonian Postmenopausal Hormone Therapy (EPHT) Trial. *BMC Med Res Methodol* 2012;12:44-2288-12-44.
- 47 Litmanen T, Ruskoaho J, Vänskä J, Patja K. Osaamistarpeet ja täydennyskoulutus lääkärin työssä. *Suom Lääkäril* 2011;66:2855–60.
- 48 Patja K, Litmanen T, Helin-Salmivaara A, Pasternack A. Lääkärin ammatillisen osaamisen laajentaminen. *Duodecim* 2009;125:2365–72.
- 49 Turner SR, White JS, Poth C, Rogers WT. Learning the CanMEDS roles in a near-peer shadowing program: A mixed methods randomized control trial. *Med Teach* 2012;34:888–92.
- 50 Frank JR, Jabbour M ym, toim. Report of the CanMEDS Phase IV Working Groups. Ottawa: The Royal College of Physicians and Surgeons of Canada, 2005.
- 51 Mattila P, Hypölä H, Sumanen M ym. Suomalaisella lääkärillä on auttajan identiteetti. *Suom Lääkäril* 2017;72:2244–8.
- 52 Sipila R, Lommi ML. Treatment recommendations do not automatically translate into treatment practices. *Duodecim* 2014;130:832–9.

 KUVIO 2.

Kumulatiivinen arkivaikuttavuus potilaan hoidossa

Sininen ympyrä: potilaan ja terveydenhuollon ammattilaisten väliseen vuorovaikutukseen pohjautuvat tiedon ja ohjauksen, tuen ja toimintakyvyn edistämisen vaikutukset. Punainen ympyrä: biologiset tai fyysiset vaikutukset sekä lumevaikutus. Keltainen ympyrä: laadun arvioinnin ja vertaiskehittämisen vaikutukset. Kumulatiivinen vaikuttavuus toistuu kaikissa hoitoketjun vaiheissa. Vaikuttavuuden suuruus kussakin portaassa on riippuvainen kontekstista. Kuviossa oletuksena on onnistunut, vaikuttavuutta tuottava hoito kaikissa vaiheissa.



Lähde: Malmivaara A. Assessing the effectiveness of rehabilitation and optimizing effectiveness in routine clinical work. *J Rehabil Med* 2018;50:849–51. doi: 10.2340/16501977-2495

misen todennäköisyys paransi (kuvio 2) (18). Hän saa myös vuorovaikutuksessa terveydenhuollon ammattilaisten kanssa tukea ja rohkaisua pyrkimyksissään muuttaa elämäntapaansa terveyden kannalta suotuisemmaksi. On näyttöä siitä, että usko omaan kykyyn muuttaa elämäntapaa on edellytys muutoksessa onnistumiselle (43). Kyse on samalla potilaan voimaantumamisesta ja tasa-arvoisesta hoitosuhteesta, joiden on todettu liittyvän hoidon vaikuttavuuteen (44). Sairaudet aiheuttavat usein vaikeuksia päivittäisissä toimissa ja osallistumisessa yhteisön toimintaan. Näiden haittojen selvittämisellä yhdessä potilaan kanssa ja haittojen minimoinnilla hoidon vaikuttavuutta voidaan edelleen lisätä (18).

Mikäli sairautteen on käytettävissä biologisesti tai fyyskäisesti vaikuttava spesifinen hoito, sen käyttö tuottaa potilaalle lisähyötyä. Tieto lääkähoidon vaikuttavuudesta perustuu yleensä kaksosokkokeikeista saatuihin tuloksiin. Arjessa

 KUVIO 3.

Arkivaikuttavuuden neljä tasoa

Osaaminen on arkivaikuttavuuden perusta. Näyttöön perustuvan lääketieteen tiedon tarjonta on Suomessa hyvällä tasolla, mutta laatutiedon ja vertaiskehittämisen osalta olemme vasta alkutaipaleella. Näihin neljään tasoon panostamalla voidaan edistää terveydenhuollon vaikuttavuutta.



Lähde: Malmivaara A. Real-effectiveness medicine – pursuing the best effectiveness in the ordinary care of patients. *Ann Med* 2013;45:103–6.

potilas saa lisäksi hyvään vuorovaikutukseen pohjautuvan lumevaikutuksen (kuvio 2) (18). Lumevaikutus on todennäköisesti suurempi koetuissa oireissa kuin objektiivisissa tulosmittareissa, kuten kuolleisuudessa (45,46). Laadun arviointi potilasryhmäkohtaisista rekisteritiedoista ja siihen pohjautuva vertaiskehittäminen tuovat vielä lisää vaikuttavuutta. Hoitokokonaisuuden vaikuttavuus on siis huomattavasti suurempi kuin yksittäisen intervention tuottama vaikuttavuus.

Lopuksi

Terveydenhuollon kokonaisuuden tasolla vaikuttavuutta voidaan optimoida suuntaamalla samanaikaisesti voimavaroja osaamiseen, näyttöön perustuvaan lääketieteeseen sekä laadun ja vertaiskehittämisen edistämiseen (kuvio 3). Osaamisen edistämässä voidaan hyödyntää Pro Medicon käyttämää CanMeds-viitekehystä, jossa lääketieteellinen osaaminen on keskiössä (47,48). Lisäksi osaamiseen kuuluu kyky vuorovaikutukseen, yhteistyöhön, johtamiseen, terveyden edistämiseen, tieteellisten artikkelien arviointiin sekä ammatillisesti korkeatasoiseen toimintaan (49,50). Vuorovaikutustaidot ovat

SIDONNAISUUDET

Antti Malmivaara: Käypä hoito-toimittaja, STM:n Palveluvalikoima-neuvoston asiantuntija ja Tuki- ja liikuntaelinjaoksen jäsen, Cochrane Back and Neck -ryhmän toimituskunnan jäsen, Cochrane Rehabilitation -johtoryhmän jäsen ja Cochrane Rehabilitation Methodology -komitean puheenjohtaja, Euroopan kuntoutusakatemia (EARM) johtoryhmän jäsen ja tulevaisuusvaliokunnan puheenjohtaja, Sairaala Ortonin tieteellisen yksikön asiantuntija. Ei taloudellisia sidonnaisuuksia.

keskeisiä ja usein tarvitaan moniammatillisen yhteistyön taitoja, jotta voidaan vaikuttaa potilaan terveyden eri osa-alueisiin. Lääkäri 2013 -tutkimuksen tulokset osoittavat, että lääkärin identiteetti liittyy vahvasti potilaan auttamiseen; lääkkeiden määrääjän rooli tuli vasta sijalla 10 (51).

Lääkärin työssä lääketieteellinen osaaminen on keskeistä, mutta lääkärin ja potilaan välinen onnistunut vuorovaikutus on tärkeä osa hyvää vaikuttavuutta. Näyttöön perustuvan lääketieteen tuoma tuki päätöksenteolle on olennaisen tärkeää, ja Suomessa on nykyään hyvä infrastruktuuri tälle tuelle (erityisesti Käypä hoito-suositukset, Lääkärin käsikirja, Terveysportti).

Tutkimusnäytön saamista osaksi arjen potilastyötä on pyritty edistämään muun muassa Käyvän hoidon kuntoutuksen implementaatiohankkeessa (52). Kliinisen epidemiologian menetelmiä pitää jatkuvasti kehittää yhä luotettavammaksi ja paremmin yleistettävään tiedon tuottamiseen ja paremmin yleistettävään tiedon tuottamiseen. Kansalliset potilasryhmäkohtaiset rekistrit parantavat hoidon vaikuttavuutta. Terveyden ja hyvinvoinnin laitos laatii valtakunnallisia potilasryhmäkohtaisia laaturekistereitä koskevan suunnitelman vuoden 2019 loppuun mennessä.

Optimaalisesti lääketiedettä (optimizing medicine) sopii iskulauseeksi yhä parempaan terveydenhuoltoon pyrittäessä (18). ●

[ENGLISH SUMMARY](#) | www.laakarilehti.fi | in english

How to study and advance effectiveness in health care – Optimizing medicine

ANTTI MALMIVAARA
M.D., Ph.D., Professor, Chief
Physician
Center for Health and Social
Economics, National Institute for
Health and Welfare

How to study and advance effectiveness in health care: optimizing medicine

Evidence of effectiveness can be obtained by experiments (randomized controlled trials, RCTs) or by observation (benchmarking controlled trials, BCTs). Double blinded RCTs quantify the biological or physical effectiveness of an intervention (for example a drug or partial meniscectomy of the knee), while non-blinded trials quantify effectiveness in ordinary health care settings. Comprehensive description of patients and interventions is mandatory for generalizability of evidence. Information, advice, support and promotion of functioning produce effectiveness. Biological and physically acting interventions may add to this effectiveness. Competence, evidence based medicine, quality assessment and benchmarking are tools for optimizing effectiveness in health care.

Liitetaulukko 1.

Vertaiskontrolloinnin menetelmä (benchmarking method)

Satunnaistetun kontrolloidun kokeen ja vertaiskontrolloidun kokeen kuvaukseen sekä tutkimuksen pätevyden ja tulosten sovellettavuuden arviointiin soveltuva menetelmä, joka sopii alkuperäistutkimusten arviointiin myös järjestelmällisissä katsauksissa.

1 Potilaiden tai väestön valikoituminen

- 1.1 Kuvaus potilaiden sisäänotto- ja poissulkukriteereistä
- 1.2 Kuvaus potilaiden kliinisestä polusta ennen rekrytoimistilannetta
- 1.3 Kuvaus ennen satunnaistamista ja/tai seurannan alkamista annetuista hoidoista
- 1.4 Tutkimukseen mukaan saatujen potilaiden osuus kaikista mukaanottokriteerit täyttäneistä potilaista
- 1.5 Tutkimuksesta pois suljettujen potilaiden kuvaus
- 1.6 Tutkimuksesta kieltäytyneiden potilaiden määrä
- 1.7 Rekrytoinnin aika ja paikka: kuinka monta potilasta rekrytoitiin kutakin hoitoyksikköä kohden rekrytointijakson aikana
- 1.8 Kuvaus rekrytoivista terveydenhuoltoyksiköistä
- 1.9 Potilaiden edustavuus kaikista väestön potilaista, jotka ovat tutkittavan hoidon tarpeessa

2 Potilastiedon kattavuus

- 2.1 Demografiset ja kliinisesti tärkeät tiedot kyseiseen sairauteen tai tilaan liittyen
- 2.2 Yleinen terveyden tila ja toimintakyky (tautispesifinen toimintakyky, yleinen toimintakyky, terveyteen liittyvä elämänlaatu)
- 2.3 Liitännäissairaudet
- 2.4 Käyttäytymistekijät (tupakointi, alkoholin ja huumeiden käyttö, liikunta, lihavuus)
- 2.5 Ympäristötekijät (työ- ja asumisolosuhteet, siviilisääty)
- 2.6 Eriarvoisuuteen liittyvät tekijät (sosioekonominen status, koulutus, etninen ryhmä)
- 2.7 Hoitoryhmien vertailukelpoisuus alkutilanteessa

3 Hoitoprosessia kuvaavien tekijöiden kattavuus

- 3.1 Hoitointervention suunniteltu sisältö
- 3.2 Vertailuintervention suunniteltu sisältö
- 3.3 Hoitointervention noudattamisen aste, siirtymät vertailuryhmään
- 3.4 Vertailuintervention noudattamisen aste, siirtymät interventioryhmään
- 3.5 Hoitohenkilöstön pätevyys ja osaaminen
- 3.6 Terveydenhuoltojärjestelmän piirteet (esim. käytettävissä olevat voimavarat, kliiniset hoitopolut)
- 3.7 Muiden terveyspalvelujen käyttö kokeen aikana

4 Tulostiedon kattavuus ja luotettavuus

- 4.1 Ensi- ja toissijaisten tulosten raportoinnin kattavuus sekä tulostietojen luotettavuus
- 4.2 Seurantakadon määrä
- 4.3 Seurannasta poisjääneiden osuudet ja syyt poisjäämiselle

5 Tilastoanalyysit

- 5.1 Voimalaskelmien kuvaus
- 5.2 Ensi- ja toissijaisten analyysien asianmukaisuus