

Projekt i interpretacja badań interwencyjnych w osteoporozie)

**XI Zjazd Polskiego Towarzystwa Osteoartrologii i Polskiej Fundacji Osteoporozy
V Krakowskie Sympozjum Osteoporozy
Kraków 27-29.09.2001**

Streszczenia:

wersja polska

Materiały kongresowe: STRESZCZENIA, s20.

Druk: Drukarnia Skinder, ISBN – 83-904008-5-5

wersja angielska

Osteoporosis International 2001; vol. 12 (Suppl 1), s1.

II

Projekt i interpretacja badań interwencyjnych w osteoporozie

Papapoulos S.E.

*Department of Endocrinology and Metabolic Diseases,
LeidenUniversityMedicalCenter, Albinusdreef 2, 2333 ZA Leiden,
The Netherlands.*

Interwencja farmakologiczna w celu zmniejszenia ryzyka złamań staje się coraz bardziej dostępna, dając lekarzom gamę możliwości. Dla podjęcia racjonalnej decyzji klinicznej, która przyniesie korzyść pacjentowi, konieczna jest obiektywna ocena danych. Prawidłowa interpretacja wyników badań interwencyjnych obejmuje kilka kwestii metodologicznych, które należy wziąć pod uwagę. Należą do nich: Projekt badania (randomizowane, kontrolowane badania kliniczne jako optymalny projekt); sprawdzane hipotezy jak również pierwszo- i drugorzędowe

punkty końcowe oceny skuteczności które będą użyte do sprawdzenia hipotezy powinny być ustalone przed rozpoczęciem badania. Badania, których punktem końcowym jest poważne zdarzenie kliniczne takie jak złamanie lub ocena jakości życia są istotniejsze. Badania powinny trwać wystarczająco długo, aby ustalił się stan równowagi metabolicznej w odpowiedzi na interwencję i aby spełnić wymagania organów regulujących. Liczba pacjentów objętych badaniem powinna być wystarczająca, aby dostarczyć informacji istotnych w praktyce klinicznej. Będzie to zdeterminowane przez wybór punktu końcowego badania (np. morfometryczne złamanie kręgu przeciw złamaniu klinicznemu) jak również przez ryzyko podstawowe pacjentów włączonych do badania. Metoda i rodzaj analizy wyników powinny być również znane wcześniej. Analiza zgodnie z zaplanowanym leczeniem jest najbardziej konserwatywna, ale również najbardziej obiektywna i o największej sile statystycznej. Dodatkowe kwestie obejmują analizę podgrup, sposób, w jaki liczy się złamania (liczba pacjentów ze złamaniem przeciwko liczbie złamań), wskaźnik pacjentów wyłączonych z badania i zaślepienie badacza na pomiary skuteczności w czasie trwania badania. Uważna ocena części metodologicznej publikacji opisującej skuteczność antyzłamaniową terapii pozwoli zdecydować, czy jest ona warta dalszej uwagi i co ważniejsze, uchroni pacjentów przed terapią, której skuteczność oceniana była według niewiarygodnych kryteriów.

II

DESIGN AND INTERPRETATION OF INTERVENTION STUDIES IN OSTEOPOROSIS

Socrates E Papapoulos

Department of Endocrinology and Metabolic Diseases, Leiden University Medical Center, Albinusdreef 2, 2333 ZA Leiden, The Netherlands

Pharmacological interventions to reduce the risk of fractures are becoming increasingly available giving a wide choice to

physicians. For rational clinical decisions that will benefit our patients objective assessment of the data is essential. The correct interpretation of the results of intervention studies involves several methodological issues that need to be considered. These include the following: The design of the study (randomized, controlled trials being the optimal design); the hypothesis to be tested as well as the primary and secondary efficacy endpoints that will be used to test the hypothesis should

be prespecified. Studies with endpoints serious clinical outcomes such as fractures or quality of life being more important. The studies should be of sufficient duration to allow a metabolic steady state to be reached in response to the intervention and to satisfy the requirements of regulatory authorities. The number of patients in the study should be sufficient to provide information relevant to clinical practice. This will be determined by the choice of the endpoint (e.g. morphometric vertebral fracture vs clinical fracture) as well by the baseline risk of the patients included in the study. The method and type of the analysis of the results should be also prespecified. An intention-to treat analysis is the most conservative but also the most objective and statistically sound. Additional issues include subgroup analyses, the way fractures are counted (number of patients with fractures versus number of fractures), drop-out rates and blinding of the investigator to efficacy measurements during the trial. Careful evaluation of the methodological section of a scientific publication reporting the antifracture efficacy of an intervention will determine whether it is worth proceeding with reading and most importantly will prevent patients from receiving interventions whose efficacy was assessed by inadequate criteria.