



Universiteit  
Leiden

The Netherlands

**Paediatric health related quality of life : a European perspective : instrument development, validation, and use in clinical practice**

Baars, R.M.

**Citation**

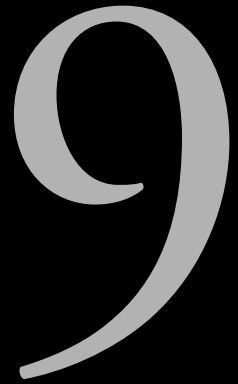
Baars, R. M. (2006, March 30). *Paediatric health related quality of life : a European perspective : instrument development, validation, and use in clinical practice*. Retrieved from <https://hdl.handle.net/1887/18420>

Version: Corrected Publisher's Version

License: [Licence agreement concerning inclusion of doctoral thesis in the Institutional Repository of the University of Leiden](#)

Downloaded from: <https://hdl.handle.net/1887/18420>

**Note:** To cite this publication please use the final published version (if applicable).



## Summary & Samenvatting



## Summary

The World Health Organisation Quality of Life (WHOQoL) group defines quality of life (QoL) as: “an individual's perception of their position in life in the context of the culture and value systems in which they live and in relation to their goals, expectations, standards and concerns”. QoL has become an increasingly important concept in society as well as in research. Social and political questions are raised about the equal distribution of QoL in our own society and over the world. In cases where people are in poor health or have become ill, improving QoL has become a key issue. Reasons for the importance of assessing QoL include the awareness that objective measures of disease severity have shown poor correlations with how a patient feels. Of influence is also the change, caused by improved medical developments, in the impact of certain diseases from potentially lethal to chronic which has led to a treatment shift from cure to care. Hence the increased focus on health related quality of life (HRQoL). In general QoL research is aimed at ensuring and improving physical and mental fitness and wellbeing. This has led to the development of several questionnaires to assess and describe QoL in various patient groups. In addition clinical research projects are increasingly including QoL as outcome measure when comparing treatment regimes. Existing QoL questionnaires are still being improved and new questionnaires are continuously being developed and tested for specific patient groups.

This thesis generally describes the developmental processes followed within the European DISADKIDS project, which was a collaboration of clinicians and investigators from seven European countries. Their aim was to develop a new European HRQoL instrument for children and adolescents with a chronic medical condition. The *first chapter* of this thesis begins with an explanation of the general principles related to HRQoL. It describes the increased interest in the assessment of QoL but also shows that the use in clinical practice is still limited. Asthma is a main topic in the thesis which is why attention is also given to the mental and physical effects of asthma on children and adolescents. We describe how questionnaires are generally developed through similar steps including defining the target group and the aim of the questionnaire, selecting items and testing the validity. The steps taken in the DISABKIDS project include focus groups in which patients indicate how their chronic condition influences them in daily life and what QoL aspects they find important. Participants were children and adolescents (and their parents) in three age groups (4-7, 8-12, 13-16) with the following chronic medical conditions: asthma, juvenile idiopathic arthritis, atopic dermatitis, cerebral palsy, cystic fibrosis, diabetes or epilepsy. The three level modular design, the inclusion of seven chronic medical conditions, the wide age range (4-16 years) and the availability of a self-assessment and a proxy version are aspects that make the DISABKIDS instrument unique.

As there is little information on the attitude of clinicians towards using QoL measurements for patient care the first objective was to learn more about the perspective of paediatric

clinicians on implementing QoL assessment in clinical practice. *Chapter two* describes a survey done among the members of the Dutch Paediatric Association. More than half of the 303 respondents (57%) believed that it was possible to use QoL questionnaires in clinical practice. The majority indicated that assessing QoL was beneficial and that it was especially necessary to assess QoL in children with a chronic disease (82%), although only a minority (17%) currently used QoL questionnaires. Obstacles that prevent the use of QoL questionnaires are the extra time needed for assessment, the unavailability of standardized questionnaires and insufficient knowledge about QoL. These are aspects that need to be considered when developing a new instrument.

The patients were considered the main source of information for the basis of the instrument, especially for the development of the included items. Focus groups were applied to identify relevant HRQoL statements from the perspective of the patient for use as items in the DISABKIDS instrument. Participants included 154 children and adolescents with a chronic medical condition, 142 family members and 26 health care professionals. A total amount of 3515 HRQoL statements were identified. The focus group method needed to be adapted for children and adolescents. A number of issues need to be considered, including developmental abilities, language skills and attention span. There was also the need to create uniformity of the method between countries. The *third chapter* describes the applied focus group methodology.

The asthma focus groups and interviews were conducted in four European countries (Greece, Italy, the Netherlands and Sweden). A description of discussed topics and outcomes is given in *chapter four*. A total of 43 children and adolescents with asthma, 33 family members and 7 health care professionals participated in the focus groups and interviews. The children and adolescents discussed the current limitations they experienced which included asthma symptoms, related medical aspects, physical limitations and social issues. Parents concentrated more on the consequences for the future, including prevention, long-term effects of medication and schooling possibilities. The focus group discussions were found to be a useful tool in generating statements from children and adolescents with a chronic condition for use in the development of a questionnaire.

The qualitative data, collected from the cross-national DISABKIDS focus groups and interviews, consisted of a total of 3515 HRQoL statements. These included generic QoL statements (n=488) not related to any medical condition, chronic generic statements (n=1647) related to any chronic medical condition and condition-specific statements (n=66 to 340) that related to one of the seven included chronic medical conditions. Sequential reduction steps were necessary to minimise the vast amount of collected statements for the development of the pilot instrument. These included redundancy scorings, importance scoring, item writing and card sorting. The steps are set out in *chapter five*. After the applied redundancy steps 100 chronic generic items and 26 to 44 condition-specific items were retained for testing in the DISABKIDS pilot study.

It was found that the applied card sorting method was the most comprehensive and straightforward method to reduce the statements and divide the items into domain groups.

The development of the seven condition-specific modules is described in *chapter six*. The DISABKIDS condition-specific modules were tested in a pilot study of 360 respondents, and subsequently in a field test of 1152 respondents in 7 European countries. The modules were developed through a step-by-step analysis process which included factor analysis, correlations and internal consistency. Results from the cognitive interviews and expert opinions were also considered. All seven final condition-specific modules consist of an 'Impact' domain and an additional domain (e.g. Worry, Stigma, Treatment) with between 10 to 12 items in total and a Cronbach's alpha varying from 0.71 to 0.90.

The questionnaire's validation results in the asthma population are presented in *chapter seven*. The core chronic generic module (37 items, covering 6 domains) and the asthma specific module (11 items and 2 domains) were both tested in 7 countries within Europe on a total sample of 405 children and adolescents with asthma. The internal consistency for all the domains was between 0.66 and 0.85 with good retest reproducibility. The domain scores differentiated between asthma severity scores. The DISABKIDS HRQoL instrument is unique in being developed cross-nationally and in a modular structure. The psychometric properties of the DISABKIDS chronic generic and asthma-specific modules are sufficient for HRQoL assessment in children and adolescents with asthma.

The first results on the psychometric properties of the DISABKIDS chronic generic and asthma-specific modules are promising, however more work will still need to be done. The discussion in *chapter eight* presents remaining limitations, future research suggestions and possibilities regarding the implementation of individual HRQoL assessment in clinical practice. Overall the European DISABKIDS project has come a long way in the development of a new cross-national HRQoL instrument for children and adolescents with a chronic medical condition. The modular build up and cross-national development offer advantages for assessment on a national and international level in HRQoL evaluation studies and clinical studies. However, further evaluation of the DISABKIDS instrument is needed to test its performance as individual measure in clinical practice and prove its relevance to clinicians. In the future, the DISABKIDS instrument may serve as a useful tool to assess HRQoL in children and adolescents with a chronic condition to benefit the quality of their lives.

## Samenvatting

De definitie van de Wereldgezondheidsorganisatie Kwaliteit van Leven (WHOQoL) groep definieert kwaliteit van leven (KvL) als: “an individual's perception of their position in life in the context of the culture and value systems in which they live and in relation to their goals, expectations, standards and concerns”. KvL is een steeds belangrijker concept geworden in zowel de maatschappij als in wetenschappelijk onderzoek. In de maatschappij en in de politiek is er aandacht voor het vraagstuk van de eerlijke verdeling van KvL in onze samenleving en de wereld. Daarnaast is het verbeteren van KvL een kernthema geworden voor mensen met een problematische gezondheid of een ziekte. Een van de redenen voor het belang van het bepalen van KvL zijn de aanwijzingen dat objectieve bepaling van de ernst van een ziekte slechts een zwak verband laat zien met het gevoel van welzijn van de patiënt. Van invloed is verder de verandering die is opgetreden als gevolg van medische ontwikkelingen in het beloop van bepaalde ziektebeelden van potentieel fataal naar chronisch, hetgeen heeft geleid tot een verschuiving van behandeling naar zorg. Vandaar de groeiende aandacht voor gezondheidsgerelateerde kwaliteit van leven ofwel ‘health related quality of life’ (HRQoL). Over het algemeen heeft onderzoek naar KvL als doel een bijdrage te leveren aan het waarborgen en verbeteren van fysieke en mentale gezondheid en welzijn. Dit heeft tot gevolg gehad dat er verscheidene vragenlijsten ontwikkeld zijn om de KvL van verschillende patiëntengroepen te bepalen en te beschrijven. Daarnaast wordt KvL steeds vaker opgenomen als afhankelijke variabele in klinische studies waarin verschillende behandelregimes worden vergeleken. Bestaande KvL vragenlijsten worden steeds verder verbeterd en nieuwe vragenlijsten worden voortdurend ontwikkeld en getest voor specifieke patiëntengroepen.

Dit proefschrift beschrijft het ontwikkelingsproces dat binnen het Europese DISABKIDS-project is gevolgd. Het project was een samenwerkingsverband van klinici en onderzoekers uit zeven Europese landen. Hun doel was om een nieuw Europees HRQoL instrument te ontwikkelen voor kinderen en adolescenten met een chronische ziekte. Het *eerste hoofdstuk* van dit proefschrift start met een schets van de algemene principes rondom HRQoL. Het beschrijft dat er een groeiende aandacht is voor het bepalen van KvL, maar ook dat het gebruik in de klinische praktijk nog beperkt is. Astma is een kernthema in dit proefschrift en daarom wordt in dit hoofdstuk ook aandacht besteed aan de psychische en lichamelijke effecten van astma op kinderen en adolescenten. We beschrijven tevens hoe vragenlijsten in het algemeen ontwikkeld worden in vergelijkbare stappen, die het definiëren van de doelgroep en het doel van de vragenlijst, itemselectie en validering omvatten. Het proces dat in het DISABKIDS-project gevolgd is omvat tevens het uitvoeren van focusgroepen, waarin patiënten konden aangeven op welke manier hun chronische ziekte hun dagelijks leven beïnvloedt en welke aspecten van KvL zij belangrijk vinden. Aan de focusgroepen hebben kinderen en adolescenten in drie leeftijdscategorieën (4-7, 8-12, 13-16) meegewerkt met de volgende chronische aandoeningen: astma, juveniele idiopathische artritis, atopische dermatitis, cerebrale parese, cystische

fibrose, diabetes of epilepsie. De modulaire opzet in drie niveaus, het opnemen van zeven chronische aandoeningen, de brede leeftijdsgroep (4-16 jaar) en de beschikbaarheid van een kind- en ouderversie zijn aspecten die het DISABKIDS-instrument uniek maken.

Aangezien er weinig informatie beschikbaar is over de attitude van klinici ten opzichte van het gebruik van KvL bepaling ten behoeve van de patiëntenzorg, was het eerste doel meer te weten te komen over het perspectief van kinderartsen en arts-assistenten op de implementatie van KvL bepaling in de klinische praktijk. *Hoofdstuk twee* beschrijft een onderzoek uitgevoerd onder de leden van de Nederlandse Vereniging van Kinderartsen (NVK). Meer dan de helft van de 303 respondenten (57%) vonden dat het mogelijk is KvL vragenlijsten te gebruiken in de klinische praktijk. De meerderheid gaf aan dat de bepaling van KvL nuttig is en dat het in het bijzonder van belang is KvL te bepalen bij kinderen met een chronische ziekte (82%). Een minderheid (17%) gebruikte echter op dat moment al KvL vragenlijsten. De belemmeringen die het gebruik van KvL vragenlijsten in de weg staan zijn vooral: de extra tijd die nodig is voor de KvL bepaling, afwezigheid van gestandaardiseerde vragenlijsten en het ontbreken van voldoende kennis over KvL. Dit zijn aspecten die bij het ontwikkelen van een nieuw instrument overwogen moeten worden.

De patiënten werden gezien als de belangrijkste bron van informatie voor de basis van het instrumenten, vooral voor de ontwikkeling van de items. Om de relevante uitspraken over HRQoL vanuit het perspectief van de patiënt te kunnen identificeren zijn er focusgroepen toegepast. Deze uitspraken dienden als basis voor de items in het DISABKIDS-instrument. Aan de focusgroepen hebben 154 kinderen en adolescenten met een chronische aandoening, 142 van hun familieleden en 26 zorgverleners meegedaan. In totaal zijn er 3515 uitspraken over HRQoL geïdentificeerd. De focusgroep-methodiek moest voor het gebruik met kinderen en adolescenten aangepast worden. Een aantal kwesties dienen daarbij overwogen te worden, zoals cognitieve mogelijkheden, taalvaardigheid en concentratie. Daarnaast was het noodzakelijk om de methode over de verschillende deelnemende landen af te stemmen. Het *derde hoofdstuk* beschrijft de gebruikte methodologie van focusgroepen.

Astmafocusgroepen en interviews zijn in vier Europese landen uitgevoerd (Griekenland, Italië, Nederland en Zweden). Een overzicht van de besproken thema's en resultaten wordt gegeven in *hoofdstuk vier*. In totaal namen 43 kinderen en adolescenten met astma, 33 familieleden en 7 zorgverleners deel aan de focusgroepen en interviews. De kinderen en adolescenten spraken vooral over de huidige beperkingen die zij ervoeren, zoals symptomen van astma, gerelateerde medische aspecten, fysieke beperkingen en sociale kwesties. Ouders richtten zich meer op de gevolgen van astma voor de toekomst van hun kinderen, zoals preventie, langetermijneffecten van de medicijnen en onderwijskansen. De focusgroepen bleken een bruikbaar instrument om uitspraken van kinderen en adolescenten met een chronische ziekte te genereren ten behoeve van de ontwikkeling van een vragenlijst.



De kwalitatieve data, verzameld via de DISABKIDS-focusgroepen en interviews in de verschillende landen, bestond uit 3515 HRQoL-uitspraken. Deze omvatten generieke KvL uitspraken (n=488) niet gerelateerd aan ziekte, chronisch generieke uitspraken (n=1647) gerelateerd aan chronische ziekten en ziektespecifieke uitspraken (n=66 tot 340) gerelateerd aan een van de zeven chronische ziekten die het project omvat. Een aantal opeenvolgende fasen van datareductie waren noodzakelijk om de grote hoeveelheid verzamelde uitspraken te minimaliseren voor gebruik in het pilot-instrument. De datareductie omvatte de identificatie van elkaar overlappende uitspraken, een score op belangrijkheid, het schrijven van items en een kaart-sorteer methode. De verschillende stappen zijn beschreven in *hoofdstuk vijf*. Na de datareductie waren er 100 chronisch generieke items en 26 tot 44 ziektespecifieke items over om te testen in de DISABKIDS-pilotstudie. Uit dit proces kwam naar voren dat de gebruikte kaart-sorteer methode de meest volledige en minst gecompliceerde methode was voor het reduceren van de uitspraken en de verdeling van items in domeinen.

De ontwikkeling van de zeven ziektespecifieke modules staat beschreven in *hoofdstuk zes*. De DISABKIDS ziektespecifieke modules zijn getest in een pilotstudie van 360 respondenten en vervolgens in een veldstudie van 1152 respondenten in de zeven Europese landen. De modules zijn ontwikkeld middels een stapsgewijs analyseproces, hetgeen factoranalyse, correlaties en interne consistentie omvatte. De resultaten van de interviews en de mening van experts zijn hierbij eveneens betrokken. De uiteindelijke zeven ziektespecifieke modules bevatten een 'Impact'-domein and een additioneel domein (bijvoorbeeld 'Worry', 'Stigma', 'Treatment') met tussen de 10 en 12 items in totaal en een Cronbach's alpha tussen de 0.71 en 0.90.

De resultaten van de validatie van het DISABKIDS-instrument in de astmapopulatie worden gepresenteerd in *hoofdstuk zeven*. De chronisch generieke module (37 items, verdeeld over 6 domeinen) en de astmaspecifieke module (11 items en 2 domeinen) zijn beide getest in zeven landen binnen Europa in een steekproef van 405 kinderen en adolescenten met astma. De interne consistentie voor alle domeinen was tussen de 0.66 en 0.85 met een goede test-hertestbetrouwbaarheid. De domeinscores differentieerden met de ernst van de astma. Het DISABKIDS-instrument voor het bepalen van de HRQoL is uniek door zijn crossnationale ontwikkeling en zijn modulaire structuur. De psychometrische eigenschappen van de DISABKIDS chronisch generieke en astmaspecifieke modules zijn voldoende voor het gebruik van het instrument voor de bepaling van HRQoL in kinderen en adolescenten met astma.

De eerste gegevens over de psychometrische eigenschappen van de DISABKIDS chronisch generieke en astmaspecifieke modules zijn veelbelovend. Er moet echter nog meer werk worden verricht. De discussie in *hoofdstuk acht* geeft een overzicht van de resterende beperkingen, suggesties voor toekomstig onderzoeken en mogelijkheden voor de implementatie van individuele HRQoL-vragenlijsten in de klinische praktijk.

Over het geheel genomen heeft het DISABKIDS-project veel bereikt in de ontwikkeling van een nieuw crossnationaal HRQoL-instrument voor kinderen en adolescenten met een chronische ziekte. De modulaire opbouw en de crossnationale ontwikkeling biedt voordelen voor het meten van HRQoL op een nationaal en internationaal niveau in beschrijvende en klinische studies. Het is echter van belang dat het DISABKIDS-instrument verder wordt onderzocht om te bepalen of het als individueel meetinstrument ook in de klinische praktijk te gebruiken is en zijn waarde kan bewijzen voor klinici. We verwachten dat het DISABKIDS-instrument in de toekomst een bruikbaar kan zijn voor het bepalen van de HRQoL van kinderen en adolescenten met een chronische ziekte en zo een bijdrage kan leveren aan de kwaliteit van hun leven.

