

Samenvatting

In de algemene inleiding (**hoofdstuk 1**) wordt de doelgroep die centraal staat binnen de onderzoeken in dit proefschrift beschreven. Dit zijn mensen met ernstige beperkingen die rolstoelgebonden zijn: zij hebben ernstige motorische beperkingen waardoor ze rolstoelgebonden zijn, ernstige verstandelijke beperkingen én veelal bijkomende gezondheidsproblemen. Deze beperkingen hebben een grote impact op hun dagelijks leven én dit vergt intensieve ondersteuning van anderen. Daarnaast is kenmerkend voor de groep dat deze heterogeen is: bij ieder individu heeft de combinatie van mogelijkheden en beperkingen andere gevolgen voor zijn of haar functioneren. Omdat mensen met ernstige beperkingen die rolstoelgebonden zijn, vaak ook beperkt zijn in de communicatie, is het bepalen wat iemand nodig heeft en wat hij belangrijk vindt voor zijn kwaliteit van leven een uitdaging. Hierbij is een persoonsgerichte aanpak bij het afstemmen van de ondersteuning en zorg belangrijk.

Gezondheidsgerelateerde kwaliteit van leven (GKvL) richt zich op de impact die gezondheid heeft op de kwaliteit van leven van de persoon. GKvL is een multidimensionaal concept en bevat lichamelijke, psychische en sociale domeinen. GKvL wordt gezien als een goede indicator om behoeften te bepalen van de persoon én om effecten van interventies te evalueren. De GKvL wordt veelal bepaald met vragenlijsten die doorgaans door de persoon zelf wordt ingevuld. Bij de doelgroep die centraal staat binnen het huidige proefschrift, is dit vanwege de ernstige beperkingen nauwelijks mogelijk en wordt de beoordeling van de GKvL door ouders of professionals, de zogenoemde proxy gedaan. Bestaande GKvL meetinstrumenten zijn veelal niet geschikt voor mensen met ernstige beperkingen die rolstoelgebonden zijn, omdat deze onvoldoende zijn aangepast aan de motorische en cognitieve beperkingen. Het algemene doel van de onderzoeken in dit proefschrift was het ontwikkelen en valideren van twee proxy instrumenten, één voor kinderen en één voor volwassenen, die de GKvL meten.

Uit literatuuronderzoek bleek dat de Engelstalige Caregiver Priorities and Child Health Index of Life with Disabilities (CPCHILD) het meest geschikte GKvL meetinstrument is voor kinderen met ernstige beperkingen die rolstoelgebonden zijn. Het doel van het eerste onderzoek (**hoofdstuk 2**) was om een vertaling en culturele adaptatie van de CPCHILD te maken naar het Nederlands en om betrouwbaarheid, inhoudsvaliditeit en constructvaliditeit van deze versie te analyseren. De CPCHILD bestaat uit 37 vragen in zes domeinen: “persoonlijke verzorging/dagelijkse activiteiten”, “zitten, staan & verplaatsen”. “welzijn & emoties”, “communicatie & sociale interactie”, “gezondheid”, “algehele kwaliteit van leven”. Er worden scores berekend per domein en voor de gehele vragenlijst, die liggen tussen 0 (laagste score) en 100 (hoogste score).

Voor het ontwikkelen van de Nederlandse versie, de CPCHILD-DV, is gebruik gemaakt van een transculturele vertalingsmethode, met vertalingsgroepen, een focuspanel en interviews met 15 ouders. Voor de analyse van de betrouwbaarheid hebben ouders van 66 kinderen tussen 4 en 18 jaar met ernstige cerebrale parese, die rolstoelgebonden waren, de vragenlijst tweemaal ingevuld met een tussentijd van twee weken (test-hertest betrouwbaarheid). Bij 53 kinderen heeft een tweede ouder de lijst ook ingevuld (inter-beoordelaarsbetrouwbaarheid). De interne consistentie van de domeinscores en de totaalscore werd berekend met Cronbach's alfa. Voor de analyse van de validiteit hebben de ouders bij het invullen van de vragenlijst beoordeeld hoe belangrijk ze elk item vonden voor de GKvL van hun kind (inhoudsvaliditeit). Voor het bepalen van de constructvaliditeit werden de gemiddelde CPCHILD-DV scores vergeleken tussen subgroepen van de kinderen op basis

van hun motorisch functioneren en op basis van hun cognitief functioneren. Bovendien werd een vergelijkbaar meetinstrument ingevuld, de TNO-AZL Preschool Children Quality of Life (TAPQOL) voor chronisch zieke kinderen, en werd de correlaties tussen de scores van CPCHILD-DV en de TAPQOL berekend (constructvaliditeit).

De gemiddelde CPCHILD-DV score was 52 (SD 11.5). Voor de test-hertest betrouwbaarheid was de intraclass correlatie coëfficiënt (ICC) voor de totaalscore goed met een waarde van 0.73, voor de domein-scores was de range tussen 0.55 en 0.80. Voor de inter-beoordelaarsbetrouwbaarheid was de ICC voor de totaalscore goed met een waarde van 0.64, voor de domeinen tussen de 0.58 en 0.90. Voor de interne consistentie varieerde de Cronbach's alfa van 0.60 tot 0.95 voor de domeinscores en totaalscore. Alle items werden door de ouders meer dan voldoende belangrijk gevonden. Er waren statistisch significante verschillen tussen de gemiddelde scores van de subgroepen. Er waren matig significante correlaties tussen (domein)scores van de CPCHILD-DV en (deel)scores van de TAPQOL. De conclusie uit dit onderzoek was dat de CPCHILD-DV voldoende betrouwbaarheid en validiteit heeft om als uitkomstmaat gebruikt te worden in klinische praktijk of in wetenschappelijk onderzoek.

Hoofdstuk 3 betrof een onderzoek waarbij geanalyseerd is welke factoren gerelateerd zijn aan de GKvL bij kinderen met ernstige beperkingen die rolstoelgebonden zijn. Factoren zijn geselecteerd op basis van de literatuur: de mate van de motorische beperking, mate van verstandelijke beperking, visueel functioneren, niveau van verbale communicatie, voedingsstatus, aanwezigheid van pijn, epileptische insulten, gebruik van intrathecale Baclofen pomp, heupdysplasie, opleidingsniveau van ouders, aanwezigheid van broertjes/zusjes en familiestructuur. Op basis van klinische ervaring zijn twee factoren toegevoegd: de aanwezigheid van een scoliose en één of meer ziekenhuisopnames in de afgelopen 6 maanden.

Van 66 kinderen met ernstige beperkingen die rolstoelgebonden zijn, is informatie verzameld over beschreven factoren via gesprekken met ouders en dossieronderzoek. Voor de GKvL score is de CPCHILD-DV door ouders ingevuld. Met behulp van multiple lineaire regressie analyse zijn de significante factoren bepaald en zijn hun relatieve aandeel aan de CPCHILD-DV scores geanalyseerd. De voorspellende modellen zijn getoetst op stabiliteit.

Uit de resultaten bleek dat de "aanwezigheid van pijn" en "één of meer ziekenhuisopnames in de afgelopen zes maanden" de belangrijkste voorspellende factoren zijn die negatief gerelateerd zijn aan de CPCHILD-DV scores. Andere factoren met een significante associatie waren: mate van motorische beperking, mate van verstandelijke beperking, niveau van verbale communicatie, voedingsstatus, epileptische insulten en opleidingsniveau van de ouders. Dit verkennend onderzoek was een eerste stap om meer inzicht te krijgen in factoren die gerelateerd zijn aan de GKvL van kinderen met ernstige beperkingen die rolstoelgebonden zijn.

Een volgend onderdeel van het validatieproces van de CPCHILD-DV (**hoofdstuk 4**) was het onderzoeken van de longitudinale validiteit: het vermogen om veranderingen over tijd te meten. In dit onderzoek werd gekeken naar het effect van twee interventies op GKvL: Botox injecties in de spieren rondom de heup (met als doel pijnvermindering of zitcomfort te verhogen) en het plaatsen van een Percutane Endoscopische Gastrostomie (PEG)-sonde (om voeding te kunnen geven als dat oraal niet of nauwelijks mogelijk was). Er zijn 38 kinderen gevolgd die op de wachtlijst stonden voor deze twee verschillende interventies, met als derde groep een controlegroep waarbij de interventie om diverse redenen niet werd uitgevoerd.

Op drie meetmomenten (vóór de interventie, drie maanden erna en zes maanden erna) zijn drie meetinstrumenten ingevuld door de ouders van de betrokken kinderen: 1. CPCHILD-DV; 2. Pediatric Quality of Life Inventory™ (PedsQL), een generiek GKvL instrument voor chronisch zieke kinderen (extern criterium); 3. een korte vragenlijst of ouders verschil in GKvL opmerkten in de afgelopen drie maanden. Om de longitudinale validiteit te toetsen zijn er hypothesen opgesteld over te verwachten scores in de verschillende interventiegroepen. In de Botoxgroep was de verwachting dat de gemiddelde CPCHILD-DV score in de eerste drie maanden zou stijgen en daarna zou afnemen, passend bij het tijdelijk effect van de Botox-injecties. In de PEG-groep was de verwachting dat de CPCHILD-DV scores na de interventie langzaam zou stijgen. Er werd weinig verschil verwacht in de CPCHILD-DV scores op de drie meetmomenten bij de controle groep. De verwachting was dat de CPCHILD-DV grotere verschillen zou meten dan de PedsQL. Tenslotte werd er een significante correlatie verwacht van de CPCHILD-DV scores en de door ouders waargenomen verschillen. Uit de resultaten bleek dat de verschillen in de drie groepen het voorspelde patroon volgden. In de Botoxgroep waren de verschillen van de CPCHILD-DV hoger dan die van de PedsQL. Er waren gematigd positieve correlaties tussen de CPCHILD-DV scores en de door ouders waargenomen verschillen. De conclusie uit dit onderzoek was dat de longitudinale validiteit van de CPCHILD-DV statistisch en klinisch voldoende is. De CPCHILD-DV kan als een evaluatieve uitkomstmaat worden gebruikt bij kinderen met ernstige beperkingen die rolstoelgebonden zijn.

In **hoofdstuk 5** is het onderzoek beschreven dat tot doel had om een nieuw meetinstrument te ontwikkelen, om ook bij volwassenen met ernstige beperkingen die rolstoelgebonden zijn, de GKvL te meten. Het ontwikkelingsproces van de CPADULT bestond uit drie stappen met de CPCHILD-DV als uitgangspunt. Stap 1 was de adaptatie van de CPCHILD-DV-items van kind naar volwassene in twee focusgroepen, één met vijf ouders en één met vijf zorgprofessionals. Bovendien werd de sensibele (is het meetinstrument zinvol en bruikbaar) besproken, over de volgende onderwerpen: begrijpelijkheid van de items, duidelijkheid van de instructie, bruikbaarheid van de antwoordschalen en gebruiksgemak. Dit proces leidde tot een eerste versie van de CPADULT. In stap 2 werd de inhoudsvaliditeit onderzocht door middel van een e-survey onder 32 zorgprofessionals (orthopedagogen, revalidatieartsen, AVG artsen, therapeuten en onderzoekers) betrokken bij volwassenen met ernstige beperkingen die rolstoelgebonden zijn. Per item kon worden aangegeven: accepteren, aanpassen of verwerpen (met redenen). In stap 3 werden interviews met vier ouders of zorgprofessionals gehouden, waarbij de items van de CPADULT en de sensibeleonderwerpen werden besproken.

Gedurende het hele proces zijn 72% van de items ongewijzigd gebleven, zijn er drie items en één element aan een bestaand item toegevoegd. Bij tien items is de formulering aangepast aan de doelgroep volwassenen. Wat betreft de sensibele zijn er kleine wijzigingen aan de instructie en de antwoordschalen gedaan. Dit onderzoek heeft geleid tot de ontwikkeling van een nieuw proxy GKvL instrument voor volwassenen met ernstige beperkingen die rolstoelgebonden zijn, met een goede sensibele.

Het doel van het laatste onderzoek (**hoofdstuk 6**) was om de psychometrische eigenschappen van de CPADULT te analyseren. Voor de analyse van de betrouwbaarheid hebben betrokkenen (ouders of zorgprofessionals) van 47 volwassenen met ernstige beperkingen die rolstoelgebonden zijn de CPADULT tweemaal ingevuld met een tussentijd van twee weken (test-hertest betrouwbaarheid, berekend met de ICC). De interne consistentie van de domeinscores en de totaalscore werd

berekend met de Cronbach's alfa. Voor de analyse van de validiteit hebben de ouders bij het invullen van de vragenlijst beoordeeld hoe belangrijk ze elk item vonden voor de GKvL van hun kind (inhoudsvaliditeit). Voor het bepalen van de constructvaliditeit werden de CPADULT scores vergeleken tussen subgroepen op basis van hun motorisch functioneren of van hun cognitief functioneren. Voor de analyse van de interpreteerbaarheid werd gekeken naar vloer- en plafond effecten en de minimaal klinisch relevante score.

De gemiddelde CPADULT score was 47.1 (SD: 11.5). Voor de test-hertest betrouwbaarheid was de ICC voor de totaalscore goed met een waarde van 0.84, voor de domein-scores varieerde deze tussen 0.61 en 0.89. Voor de interne consistentie van de domeinscores en de totaalscore lag de Cronbach's alfa tussen de 0.75 en 0.95. Alle items werden door de ouders meer dan voldoende belangrijk gevonden. Er waren statistisch significante verschillen tussen de gemiddelde scores van de subgroepen. Er was geen sprake van vloer- of plafondeffecten. De verschillen waren bovendien hoger dan de minimaal klinisch relevante score, berekend op 5.8. De conclusie uit dit onderzoek was dat de CPADULT voldoende betrouwbaarheid en validiteit heeft om als uitkomstmaat gebruikt te worden in klinische praktijk of in wetenschappelijk onderzoek.

In de algemene discussie (**hoofdstuk 7**) is geconcludeerd dat door middel van uitgevoerde onderzoeken twee GKvL proxy meetinstrumenten zijn ontwikkeld met voldoende betrouwbaarheid en validiteit. Er waren diverse methodologische uitdagingen die kenmerkend zijn voor onderzoek bij mensen met ernstige beperkingen die rolstoelgebonden zijn, zoals de heterogeniteit, geringe omvang van de onderzoeksgroepen, onvermogen van de personen tot zelfreflectie én het gebrek aan vergelijkende instrumenten

De CPCHILD-DV en CPADULT kunnen in de klinische praktijk gebruikt worden bij het vormgeven van de persoonsgerichte zorg en ondersteuning, door jaarlijks de GKvL te evalueren. Bovendien kan er op individueel niveau worden gekeken naar hoe de GKvL wordt beïnvloed door bepaalde interventies zoals medicatieverandering of pijnbehandeling, Hierbij kunnen de meetinstrumenten op verschillende momenten worden ingevuld (vooraf en twee of drie meetmomenten erna) en de verschillen worden berekend.

Daarnaast kunnen in verder wetenschappelijk onderzoek bij mensen met ernstige beperkingen die rolstoelgebonden zijn, de CPCHILD-DV en CPADULT ook worden ingezet. Met behulp van deze meetinstrumenten kan de GKvL als uitkomstmaat worden gebruikt bij de evaluatie van effecten van interventies, zoals veelvoorkomende operaties of medicatiegebruik.