

Influence d'une covariable sur le changement dans le temps des patient-reported outcomes (PRO) et le response shift (adaptation) des patients

Evaluation d'un algorithme basé sur les modèles de Rasch



UNIVERSITÉ DE NANTES
UFR DE SCIENCES PHARMACEUTIQUES
ET BIOLOGIQUES



Priscilla BRISSON, Véronique SEBILLE, Jean-Benoit HARDOUIN, Myriam BLANCHIN

U1246 SPHERE « methodS in Patient-centered outcomes and Health Research »,
Université de Nantes, Université de Tours, INSERM, Nantes, France

EVALUATION DU CHANGEMENT DES DONNEES PRO

■ Patient Reported Outcomes (PRO)

- ▶ Autorapporté par le patient
- ▶ Concepts non-observables = trait latent : *anxiété, qualité de vie, fatigue...*

Sloan et al., 2007.

■ Comparaison des réponses aux items

- ▶ Invariance de la mesure ? *Même perception ?*
- ▶ Response Shift : Perception différente des réponses aux items au cours du temps
 - ▶ **Recalibration**

Schwartz & Sprangers, 1999.

■ Biais de mesure

EVALUATION DU CHANGEMENT DES DONNEES PRO

■ Patient Reported Outcomes (PRO)

- ▶ Autorapporté par le patient
- ▶ Concepts non-observables = trait latent : *anxiété, qualité de vie, fatigue...*

Sloan et al., 2007.

■ Comparaison des réponses aux items

- ▶ Invariance de la mesure ? *Même perception ?*
- ▶ Response Shift : Perception différente des réponses aux items au cours du temps
 - ▶ **Recalibration**

Schwartz & Sprangers, 1999.

■ Biais de mesure

QLQ-C30

**Au cours de la semaine passée,
18- Etiez-vous fatigué(e) ?**

Beaucoup Assez Un peu Pas du tout

EVALUATION DU CHANGEMENT DES DONNEES PRO

■ Patient Reported Outcomes (PRO)

- ▶ Autorapporté par le patient
- ▶ Concepts non-observables = trait latent : *anxiété, qualité de vie, fatigue...*

Sloan et al., 2007.

■ Comparaison des réponses aux items

- ▶ Invariance de la mesure ? *Même perception ?*
- ▶ Response Shift : Perception différente des réponses aux items au cours du temps
 - ▶ **Recalibration**

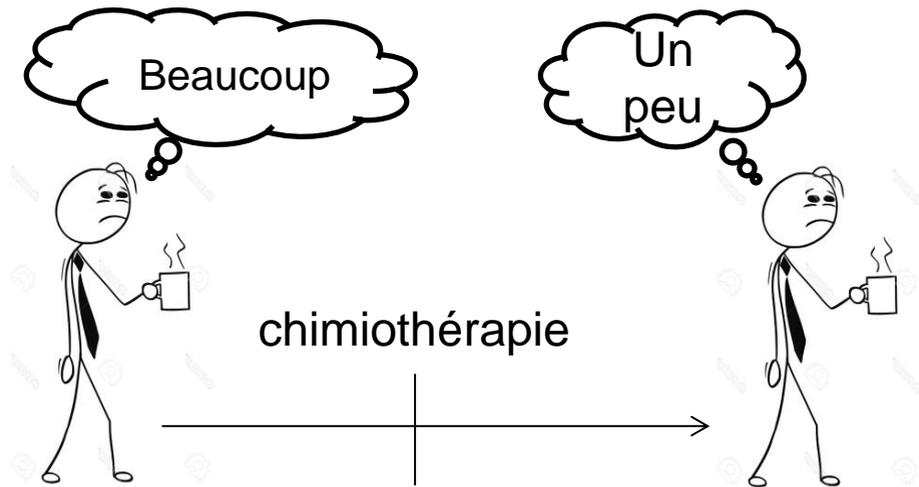
Schwartz & Sprangers, 1999.

■ Biais de mesure

QLQ-C30

**Au cours de la semaine passée,
18- Etiez-vous fatigué(e) ?**

Beaucoup Assez Un peu Pas du tout



METHODE DE DETECTION DE LA RECALIBRATION

- **Niveau item :**
 - ▷ Modèles à équations structurelles longitudinaux : Procédure de Oort
 - ▷ Théorie de réponse à l'item ou **modèles de Rasch : ROSALI**
- **Hypothèse :** Tout l'échantillon est affecté de la même manière par la recalibration
- **INTEGRER UNE COVARIABLE DANS ROSALI :** Evaluer l'influence d'une covariable sur la recalibration (ex : localisation cancéreuse)

ROSALI : RespOnse Shift ALgorithm at Item-level

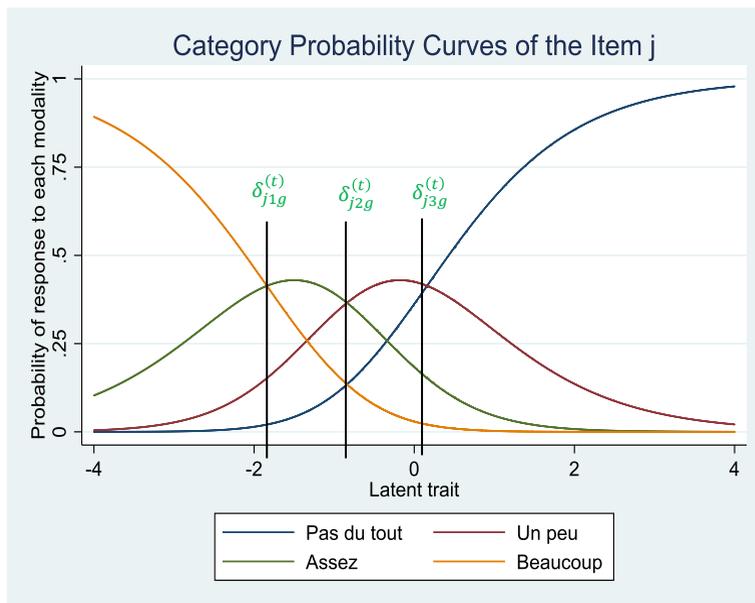
β_g : Effet groupe
 g_i : le groupe de l'individu i
 β_{inter} : interaction temps x groupe
 t_2 : indicatrice du 2nd temps
 $\theta_i^{(t)}$: Niveau du patient i sur le trait latent au temps t

- Partial-Credit Model (PCM) – 2 temps de mesure

$$P \left(X_{ij}^{(t)} = x | \beta_g, g_i, \beta_{inter}, t_2, \theta_i^{(t)}, \delta_{j1g}^{(t)}, \dots, \delta_{jm_jg}^{(t)} \right) = \frac{\exp \left(x \left(\beta_g \times g_i + \beta_{inter} \times g_i \times t_2 + \theta_i^{(t)} \right) - \left[\sum_{p=1}^x \delta_{jpg}^{(t)} \right] \right)}{\sum_{l=0}^{m_j} \exp \left(l \left(\beta_g \times g_i + \beta_{inter} \times g_i \times t_2 + \theta_i^{(t)} \right) - \left[\sum_{p=1}^l \delta_{jpg}^{(t)} \right] \right)}$$

Fischer & Ponocny, 1994; Masters, 1982

$\delta_{jpg}^{(t)}$: $p^{\text{ème}}$ Difficulté de l'item j du groupe g au temps t



ROSALI : RespOnse Shift ALgorithm at Item-level

β_g : Effet groupe
 g_i : le groupe de l'individu i
 β_{inter} : interaction temps x groupe
 t_2 : indicatrice du 2nd temps
 $\theta_i^{(t)}$: Niveau du patient i sur le trait latent au temps t

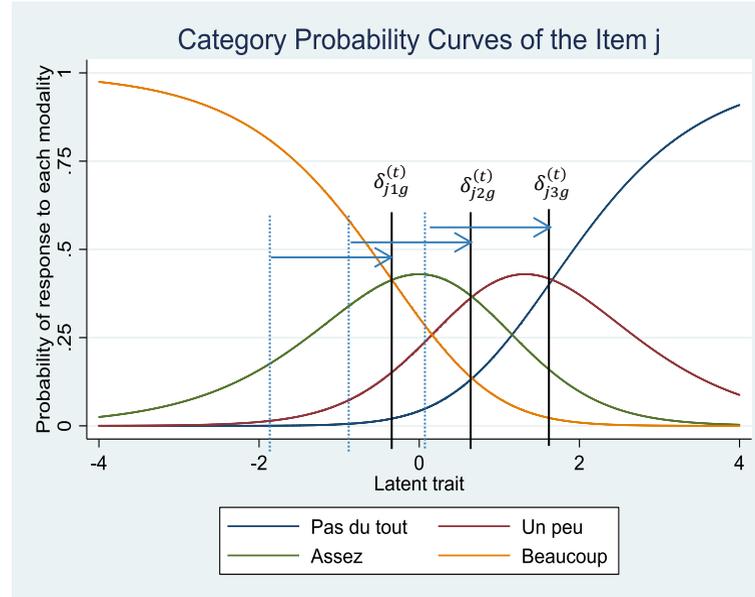
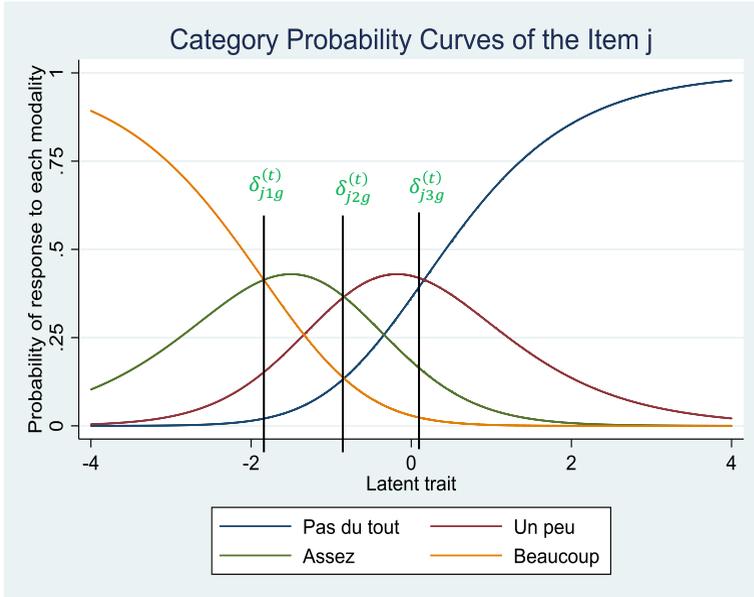
- Partial-Credit Model (PCM) – 2 temps de mesure

$$P(X_{ij}^{(t)} = x | \beta_g, g_i, \beta_{inter}, t_2, \theta_i^{(t)}, \delta_{j1g}^{(t)}, \dots, \delta_{jm_jg}^{(t)}) = \frac{\exp(x(\beta_g \times g_i + \beta_{inter} \times g_i \times t_2 + \theta_i^{(t)}) - [\sum_{p=1}^x \delta_{jpg}^{(t)}])}{\sum_{l=0}^{m_j} \exp(l(\beta_g \times g_i + \beta_{inter} \times g_i \times t_2 + \theta_i^{(t)}) - [\sum_{p=1}^l \delta_{jpg}^{(t)}])}$$

Fischer & Ponocny, 1994; Masters, 1982

$\delta_{jpg}^{(t)}$: $p^{\text{ème}}$ Difficulté de l'item j du groupe g au temps t

UNIFORME



ROSALI : RespOnse Shift ALgorithm at Item-level

β_g : Effet groupe
 g_i : le groupe de l'individu i
 β_{inter} : interaction temps x groupe
 t_2 : indicatrice du 2nd temps
 $\theta_i^{(t)}$: Niveau du patient i sur le trait latent au temps t

- Partial-Credit Model (PCM) – 2 temps de mesure

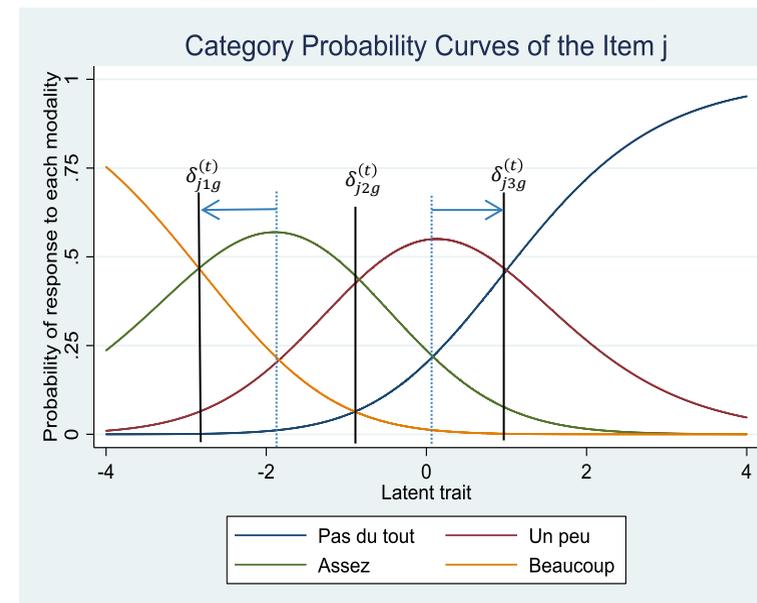
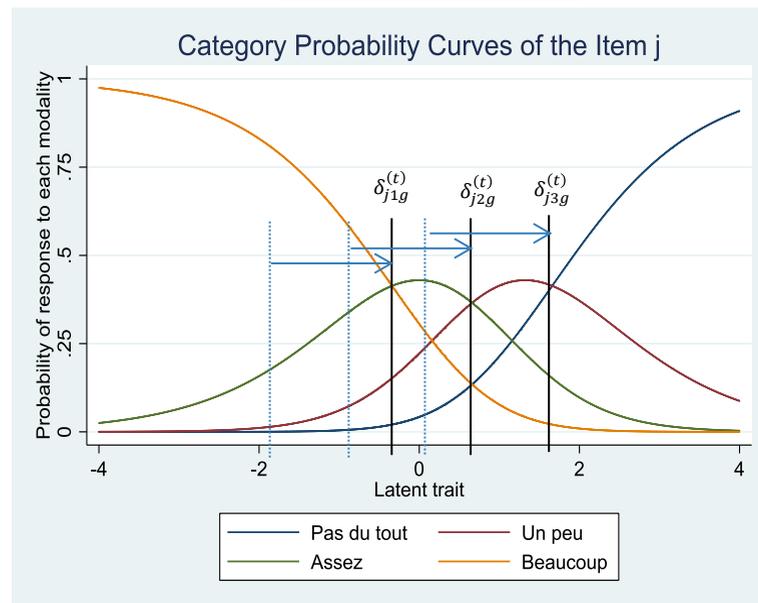
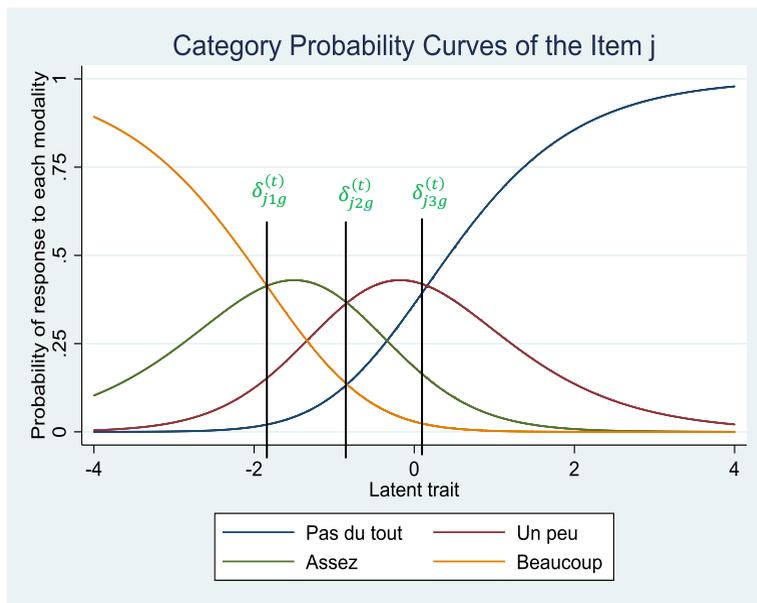
$$P(X_{ij}^{(t)} = x | \beta_g, g_i, \beta_{inter}, t_2, \theta_i^{(t)}, \delta_{j1g}^{(t)}, \dots, \delta_{jm_jg}^{(t)}) = \frac{\exp(x(\beta_g \times g_i + \beta_{inter} \times g_i \times t_2 + \theta_i^{(t)}) - [\sum_{p=1}^x \delta_{jpg}^{(t)}])}{\sum_{l=0}^{m_j} \exp(l(\beta_g \times g_i + \beta_{inter} \times g_i \times t_2 + \theta_i^{(t)}) - [\sum_{p=1}^l \delta_{jpg}^{(t)}])}$$

Fischer & Ponocny, 1994; Masters, 1982

$\delta_{jpg}^{(t)}$: $p^{\text{ème}}$ Difficulté de l'item j du groupe g au temps t

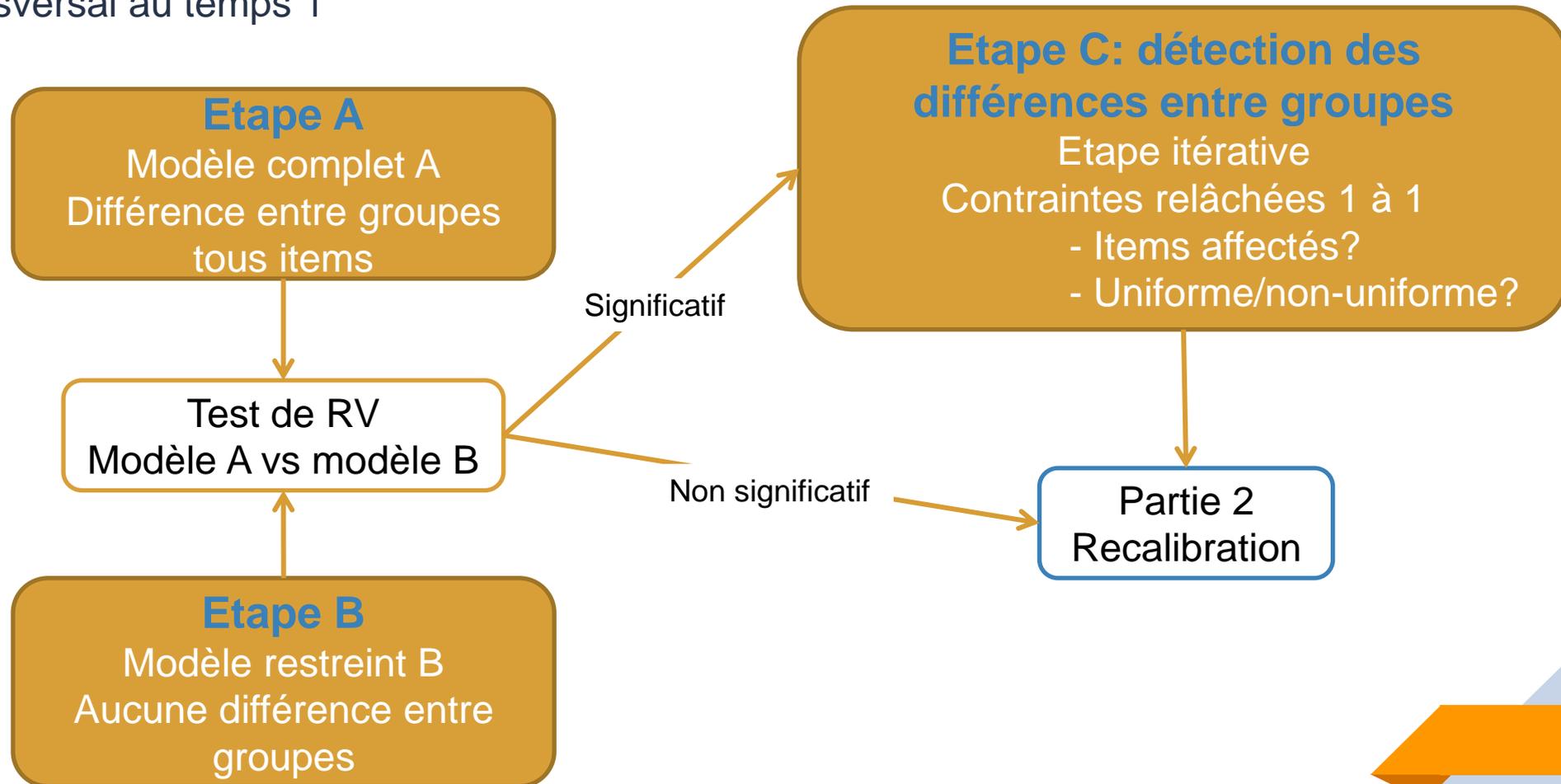
UNIFORME

NON-UNIFORME

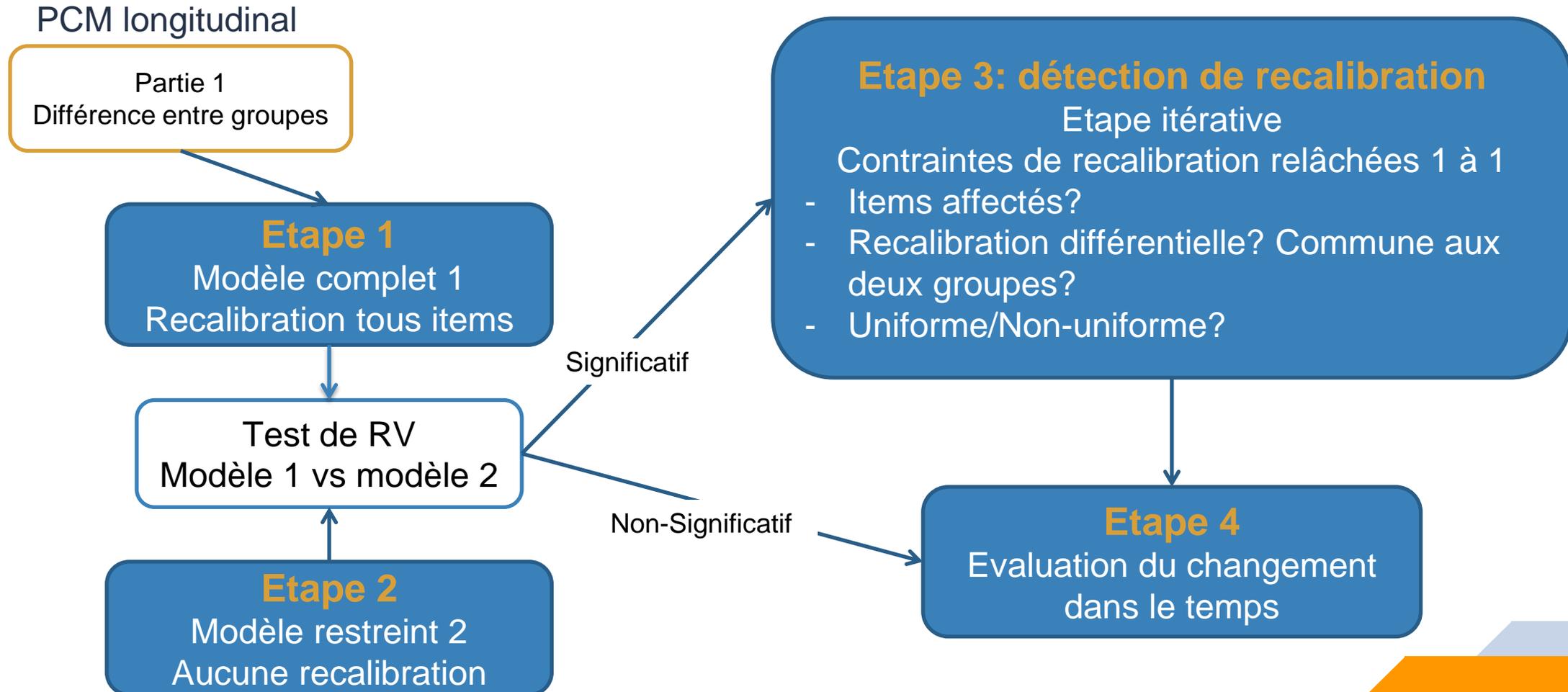


ROSALI PARTIE I : DETECTION DE DIFFERENCES DE DIFFICULTES D'ITEMS ENTRE LES GROUPES AU TEMPS 1

PCM Transversal au temps 1



ROSALI PARTIE II : DETECTION DE RECALIBRATION



PLAN DE SIMULATION

- 2 groupes de taille identique
 - Pas de différence de difficultés d'items entre les groupes au temps 1
 - **Pas de recalibration**
 - Recalibration sur 1 item :
 - ▷ **Recalibration commune** : Même type + mêmes valeurs de recalibration pour les 2 groupes
 - ▷ **Recalibration différentielle** :
 - ▷ Même type + valeurs différentes de recalibration sur **les 2 groupes**
 - ▷ *Recalibration sur un seul groupe*
- 624 combinaisons, 500 réplifications

Paramètres	Valeurs
Taille d'échantillon (N)	200 ; 300 ; 500
Nombre d'items	4 ; 7
Nombre de modalités	4 ; 7
Effet groupe	0 ; 0,2
Effet temps	0 ; 0,3
Interaction temps x groupe	0
Nombre item affecté	1
Type de RC	Uniforme ; Non-uniforme

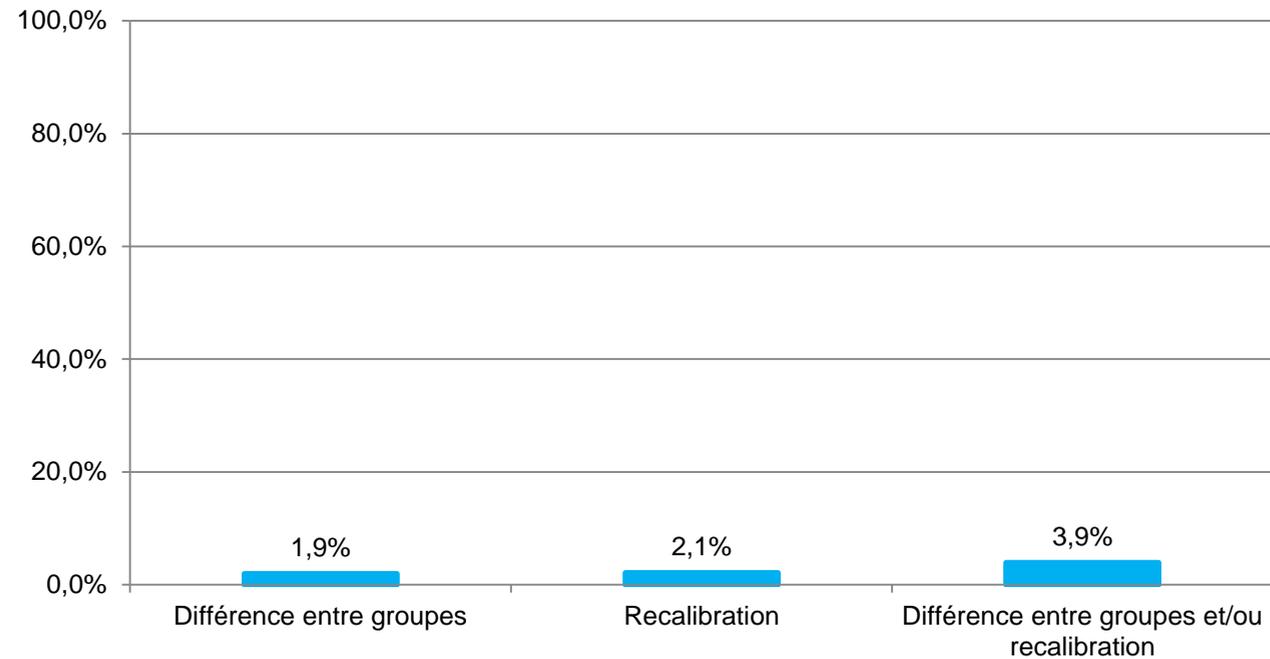
ANALYSE AVEC ROSALI

- Jeux simulés sans recalibration :
 - ▷ Taux de détection à tort de recalibration
 - ▷ Taux de détection à tort de différence de difficultés d'item entre les groupes au temps 1
- Jeux simulés avec de la recalibration :



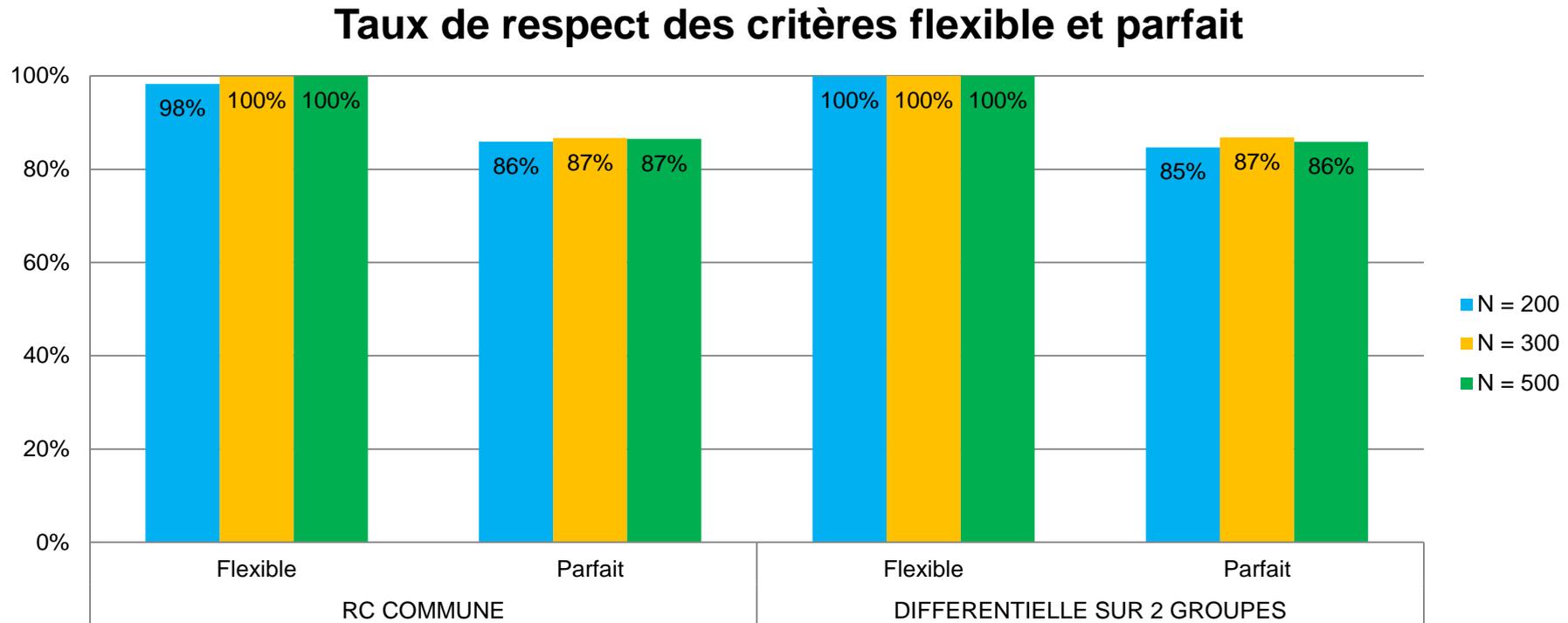
JEUX SIMULES SANS RECALIBRATION

Taux de détection à tort



- Taux de détection à tort : faible

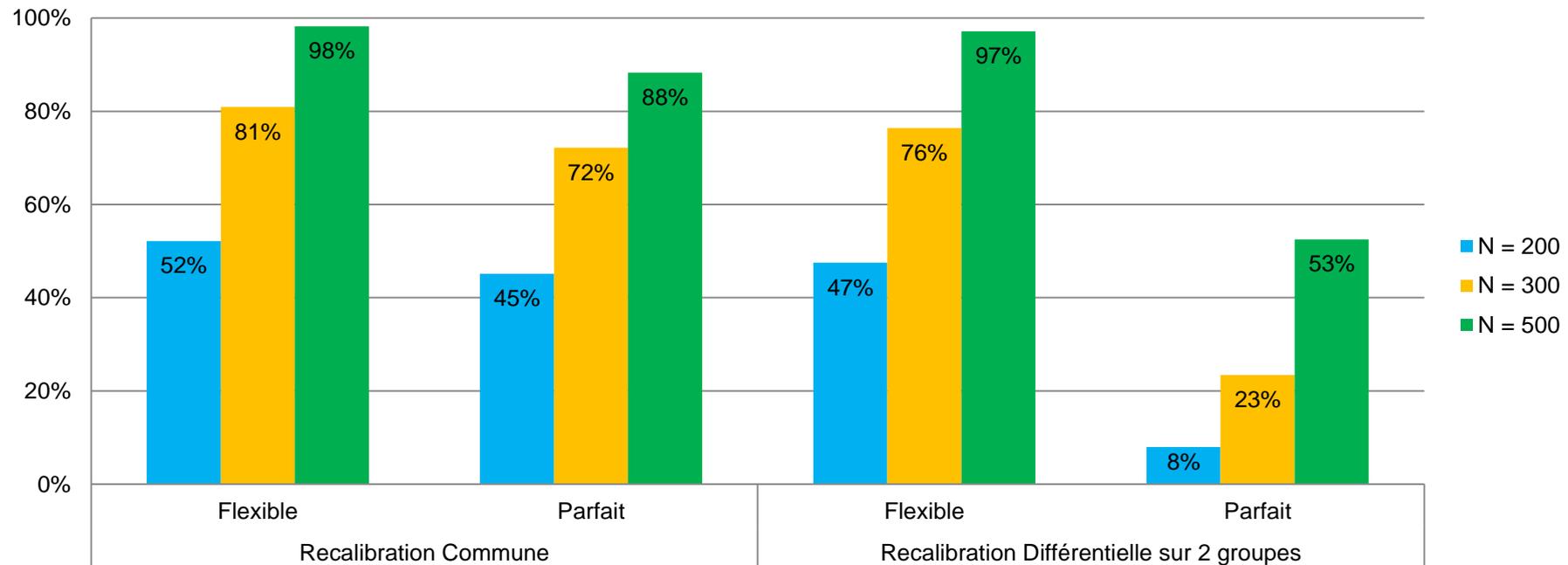
CRITERES : RECALIBRATION UNIFORME



- Recalibration correctement détectée
- Erreur principale : Type de recalibration

CRITERES : RECALIBRATION NON-UNIFORME

Taux de respect des critères flexible et parfait



- Effet taille d'échantillon : Difficulté pour identifier la recalibration
- Recalibration commune : correctement détectée
- Recalibration différentielle : faible détection, détection de la recalibration uniquement sur un groupe

BILAN & PERSPECTIVES

■ Bilan

- ▷ Taux de détection à tort de recalibration : faible
- ▷ Détection de recalibration : effet type de recalibration et taille d'échantillon
- ▷ Implémentation de l'algorithme, disponibilité prochaine sous Stata et PRO-online.net

■ Etude de simulations

- ▷ Recalibration plus complexe (différent type, plusieurs items affectés...)
- ▷ Différence entre groupes au temps 1 (avec ou sans recalibration)
- ▷ Données manquantes

■ Plus de flexibilité dans la covariable

- ▷ Covariable à + de 2 modalités
- ▷ Plusieurs covariables

■ **ROSALI AVEC COVARIABLE**

- ▷ Programme bientôt disponible
 - ▷ Sous **Stata**
 - ▷ Sur le site : PRO-online.net (*gratuitement*)



priscilla.brisson@univ-nantes.fr
U1246 SPHERE: sphere-nantes.fr



UNIVERSITÉ DE NANTES
UFR DE SCIENCES PHARMACEUTIQUES
ET BIOLOGIQUES



La science pour la santé
From science to health

REFERENCES

1. Sloan JA, Halyard MY, Frost MH, Dueck AC, Teschendorf B, Rothman ML, et al. The Mayo Clinic manuscript series relative to the discussion, dissemination, and operationalization of the Food and Drug Administration guidance on patient-reported outcomes. *Value Health J Int Soc Pharmacoeconomics Outcomes Res.* déc 2007;10 Suppl 2:S59-63.
2. Schwartz CE, Sprangers MA. Methodological approaches for assessing response shift in longitudinal health-related quality-of-life research. *Soc Sci Med* 1982. juin 1999;48(11):1531-48.
3. Oort FJ. Using structural equation modeling to detect response shifts and true change. *Qual Life Res Int J Qual Life Asp Treat Care Rehabil.* avr 2005;14(3):587-98.
4. Verdam MGE, Oort FJ, Sprangers MAG. Using structural equation modeling to detect response shifts and true change in discrete variables: an application to the items of the SF-36. *Qual Life Res.* 2016;25:1361-83.
5. Guilleux A, Blanchin M, Vanier A, Guillemin F, Falissard B, Schwartz CE, et al. RespOnse Shift ALgorithm in Item response theory (ROSALI) for response shift detection with missing data in longitudinal patient-reported outcome studies. *Qual Life Res.* 1 mars 2015;24(3):553-64.
6. Fischer GH, Ponocny I. An extension of the partial credit model with an application to the measurement of change. *Psychometrika.* 1 juin 1994;59(2):177-92.