

STRESZCZENIE

Choroba zwyrodnieniowa stawu biodrowego (ang. *osteoarthritis*, OA) jest najczęstszą chorobą stawów a także główną przyczyną niesprawności, bólu i obniżenia jakości życia u ludzi starszych. Jedyną skuteczną metodą leczenia OA stawu biodrowego w zaawansowanej fazie choroby (ang. *end-stage OA*) jest alloplastyka (ang. *total hip replacement*, THR). THR jedną z najbardziej efektywnych operacji ortopedycznych i jednym z najbardziej spektakularnych sposobów leczenia w całej medycynie. Miary oceny wyników THR takie jak określenie współczynnika przeżywalności implantu czy odsetka wykonanych zabiegów rewizyjnych nie odzwierciedlają jednak zagadnień najważniejszych dla chorego: satysfakcji z leczenia i poprawy jakości życia. Na wiarygodną ocenę wyników leczenia operacyjnego pozwalają dopiero metody subiektywne, zależne od samego pacjenta (ang. *patient-reported outcome measures*, PROM). Do tej pory nie było w Polsce zaadaptowanego językowo i kulturowo PROM do oceny stanu czynnościowego i jakości życia chorych po operacjach stawu biodrowego.

Celem nadrzędnym przedstawianej pracy było opracowanie powtarzalnej i rzetelnej metody oceny subiektywnej chorych z OA, badanie wyników wczesnych leczenia operacyjnego a także próba identyfikacji czynników, od których zależy dobry i zły wynik THR.

Grupę badaną stanowili chorzy poddani planowej THR na Oddziale Chirurgii Urazowo–Ortopedycznej ZOZ MSWiA z Warmińsko Mazurskim Centrum Onkologii w Olsztynie w latach 2013–2016. Pracę podzielono na dwa etapy.

W **studium pierwszym** niniejszej rozprawy opisano proces adaptacji językowej i kulturowej wersji polskiej instrumentu badawczego, *Hip disability and Osteoarthritis Outcome Score* (HOOS). Celem tej części było ponadto określenie własności psychometrycznych, w tym powtarzalności, trafności i wrażliwości polskiej wersji językowej HOOS do oceny chorych z OA stawu biodrowego poddanych THR.

Tłumaczenie i adaptację międzykulturową HOOS przeprowadzono w oparciu o wersje oryginalne w języku szwedzkim i angielskim. Opracowaną wersję polską HOOS przetestowano w pierwszej kolejności u chorych ambulatoryjnych z OA stawu biodrowego a następnie, po naniesieniu niezbędnych poprawek, zastosowano u chorych poddanych THR. Badaniem objęto 157 chorych (84 kobiety i 73 mężczyzn). Przeprowadzono ocenę przedoperacyjną i ocenę po roku

od wykonanej THR. Poza wersją polską HOOS oraz jej wariantem skróconym HOOS–JR (HOOS *for Joint Replacement*), chorzy wypełniali kwestionariusz SF–36 a także oceniali dolegliwości bólowe według skali wizualnej analogowej (ang. *visual analog scale*, VAS) i satysfakcję z operacji według skali globalnego dostrzegalnego efektu (ang. *Global Perceived Effect*, GPE). Własności psychometryczne HOOS i HOOS–JR badano zgodnie z przyjętym protokołem COSMIN oceniając między innymi spójność wewnętrzną (współczynnik α Cronbacha), powtarzalność test–retest (współczynnik korelacji wewnątrz klasy, ang. *intraclass correlation coefficient*, ICC), trafność treściową i strukturalną (analiza składowych głównych) a także trafność konstruktów (korelacja pomiędzy wynikami w domenach HOOS i HOOS–JR oraz SF–36 i VAS) oraz wrażliwość (standaryzowana wielkość efektu [ang. *standardized effect size*, SES] oraz współzależności między domenami HOOS i GPE).

Efekt podłogi stwierdzono w badaniu przedoperacyjnym w domenach: Sport i Rekreacja (Sport/Rec) oraz Jakość życia (ang. *quality of life*, QoL). Współczynnik α Cronbacha był we wszystkich domenach wyższy od 0,7, co wskazuje na dobrą spójność wewnętrzną. Powtarzalność test–retest była dobra dla domeny Ból (ICC = 0,82) i doskonała dla wszystkich pozostałych domen HOOS i HOOS–JR (ICC od 0,91 do 0,96). MDC na poziomie indywidualnym wyniosła od 12,0 do 26,2 a na poziomie grupy od 1,4 do 3,0. Potwierdzono osiem z dziewięciu przyjętych *a priori* hipotez dotyczących korelacji HOOS i HOOS–JR oraz SF–36 i VAS, co wskazuje na dobrą trafność konstruktów. Analiza składowych głównych wykazała redundancję niektórych pytań (zagadnień) z domeny Ból oraz Czynności dnia codziennego (ang. *activities of daily living*, ADL). Wrażliwość kwestionariusza HOOS wyrażona przez wysokie wartości SES i pozytywną weryfikację hipotez dla korelacji między zmianą wartości HOOS i HOOS–JR w czasie a wartościami GPE) była wysoka.

Stwierdzono, że wersje polskie instrumentów HOOS i HOOS–JR charakteryzują się dobrymi cechami psychometrycznymi i są użyteczne w ocenie wyników zależnych od pacjenta u chorych poddanych alloplastyce stawu biodrowego z powodu OA.

W **studium drugim** dokonano oceny prospektywnej wyników leczenia chorych z OA, poddanych THR. Na podstawie danych referencyjnych populacyjnych zaproponowano definicje dobrego wyniku czynnościowego (ang. *functional recovery*, FR) i niepowodzenia leczenia (ang. *treatment failure*, TF). Celem tej części pracy była także ocena współzależności pomiędzy poprawą w ciągu pierwszego roku od zabiegu a stanem fizycznym i psychicznym

chorych przed operacją oraz próba identyfikacji czynników predykcyjnych dla uzyskania FR lub TF.

Spośród 195 chorych poddanych THR, 179 (92%, 98 kobiet i 81 mężczyzn) spełniło kryteria włączenia i zgodziło się na uczestnictwo w badaniu. Podczas badania przedoperacyjnego (A) przeprowadzono szczegółowe badanie kliniczne chorych, badania ankietowe (HOOS, SF-36), oceniano poziom aktywności fizycznej wg Tegnera (ang. *Tegner Activity Score*, TAS), BMI. Ocena pooperacyjna chorych (ang. *follow-up*) odbywała się trzykrotnie: 6–8 tygodni po THR (badanie B), 6 miesięcy po THR (badanie C) oraz rok po THR (badanie D). Podczas tych wizyt przeprowadzono badania kliniczne, ocenę HOOS i TAS. W poszczególnych badaniach uczestniczyło 148 (badanie B, 83%), 134 (C, 75%) i 135 chorych (D, 75%).

Za główny wskaźnik oceny przyjęto poprawę czynności pomiędzy badaniami A i D obliczaną w oparciu o zastosowany po raz pierwszy w tej pracy indeks HOOS₄ (wynik średni z czterech spośród pięciu domen HOOS: Ból, Objawy, ADL i QoL). Wskaźnikami dodatkowymi były wybrane parametry z badania przedmiotowego, aktywność w skali TAS, wyniki w komponentach: fizycznym (ang. *physical component summary*, PCS) i mentalnym (ang. *mental component summary*, MCS) skali SF-36 oraz ocena bólu w skali VAS.

Badanie wykazało postępującą między badaniami poprawę stanu chorych w HOOS₄ i we wszystkich domenach HOOS. Największe postępy zaobserwowano w ciągu pierwszych sześciu do ośmiu tygodni po operacji, pomiędzy badaniem A i B. Liczba chorych z dodatnim objawem Trendelenburga (TT) zmniejszała się z badania na badanie, by po roku od THR osiągnąć 30%. FR wykazano po roku u 27% chorych podczas gdy TF stwierdzono u 16% chorych.

Szansa na uzyskanie FR po roku od THR jest większa u chorych w wieku 63–72 lata oraz z wyższymi wynikami ($\geq 30,3$) komponentu PCS w SF-36. Ryzyko TF jest znamienne wyższe u chorych z niskimi wartościami przedoperacyjnymi (z dolnego i środkowego tercyla, $\leq 30,8$) komponentu PCS oraz MCS o wartościach mieszczących się w dolnym tercylu ($\leq 35,9$).

Na podstawie przeprowadzonych badań można wnioskować, że stan chorych chorzy poddanych THR ulegał systematycznej poprawie przez cały rok po operacji. Największy postęp odnotowano jednak w trakcie pierwszych dwóch miesięcy obserwacji. Jedynie nieco ponad jedna czwarta chorych uzyskuje po THR wynik czynnościowy równy bądź wyższy od wartości referencyjnej ustalonej dla populacji odpowiedniej pod względem wieku i płci.

SUMMARY

Osteoarthritis (OA) is the most common joint disease and one of the major causes of pain and physical disability in the elderly. The only effective treatment of end-stage OA in a hip joint is total hip replacement (THR). Being very efficient in relieving pain and restoring function to the hip joint, THR has a reputation of the most successful operation in orthopedics and one of the most effective procedures in medicine.

Traditionally, the outcome of THR has been quantified by orthopaedic surgeons as morbidity and mortality rates, alternatively as the implant survival rate indices. The implant survival index, however, says nothing about postoperative patient satisfaction, pain reduction, hip function or quality of life. Since patients are generally less satisfied with their outcomes than surgeons are, the assessment made from the patient's perspective with patient-reported outcome measures (PROMs) is advocated. So far, there have been no available formally cross-culturally adapted PROMs that could be used for assessment of functional status and quality of life following hip surgery in Poland.

Hence, the overall purpose of this study was to prepare and introduce in Poland a reliable and reproducible score that would be beneficial to assess patients with hip OA undergoing THR. In addition, I aimed at reporting the short-term THR results and investigating whether there are any potential predicting factors for good and bad results of THR.

All patients were recruited at the Department of Orthopedics, Ministry of the Interior and Administration Hospital in Olsztyn between 2013 and 2016. The whole work was divided into two parts.

In the **first study**, the process of translation and cross-cultural adaptation of the Hip disability and Osteoarthritis Outcome Score (HOOS) into Polish was described. The second objective of the study was to investigate the psychometric properties of the HOOS in patients with OA undergoing THR.

The Polish version of the HOOS was developed simultaneously from English and Swedish according to current guidelines. The pilot testing was performed in an outpatient clinic in subjects with OA undergoing basic treatment. All questions and response options of the pre-final HOOS questionnaire were considered satisfactory and understandable by the subjects after small corrections.

When performing the clinical validation study, the patients completed the HOOS and its shorter form designed exclusively for subjects undergoing arthroplasty, HOOS–JR (HOOS–Joint Replacement), Short Form 36 Health Survey (SF–36), the visual analogue scale (VAS) for pain and the global perceived effect (GPE) scale. Psychometric properties including interpretability (floor/ceiling effects), internal consistency (Cronbach’s alpha), test–retest reliability (intra–class correlation coefficient, ICC), content and structure validity (exploratory principal factor analysis), convergent construct validity (*a priori* hypothesized Spearman’s correlations between the HOOS subscales, HOOS–JR, the generic SF–36 measure and the VAS for pain) and responsiveness (effect size, association between the HOOS and GPE scores) were analyzed.

The study included 157 patients (84 women and 73 men). Floor effects were found prior to THR for the HOOS subscales Sports and Recreation Function and Quality of Life (QoL). The Cronbach’s alpha was over 0.7 for all subscales indicating satisfactory internal consistency. The test–retest reliability was good for the HOOS subscale Pain (0.82) and excellent for all other HOOS subscales and the HOOS–JR with ICCs ranging from 0.91 to 0.96. The minimal detectable change ranged from 12.0 to 26.2 on an individual level and from 1.4 to 3.0 on a group level. Eight out of nine *a priori* hypotheses were confirmed indicating good construct validity. Exploratory principal factor analysis revealed some redundancy in HOOS subscales Pain and Activities of daily living (ADL). Responsiveness was high since the expected pattern of effect sizes in all subscales was found.

The Polish version of the HOOS and the HOOS–JR demonstrated good reliability, validity and responsiveness for use in patient groups having THR.

The **second study** was devoted to the prospective short–term analysis of THR. Since, to the best of my knowledge, no study has so far characterized the results of THR based on population data, my purpose was to use HOOS reference values to identify patients with a satisfactory and unsatisfactory outcome. The secondary purpose was to investigate whether there are any potential predicting factors for newly defined: functional recovery (FR) or treatment failure (TF) after THR.

Out of 195 subjects who had been operated at the Department, 179 (92%, 98 women and 81 men) met the inclusion criteria and agreed to participate. The preoperative (baseline) and follow–up assessments were done in the clinic. During the assessment A, the participants were examined clinically and asked to fill out the Polish version of HOOS, the SF–36, the Tegner

Activity Score (TAS), the VAS for pain and give data on gender, age, living arrangement, level of education, working status and the number of joints affected by arthritis. At the follow-up assessments, the participants underwent clinical examination and were asked to complete the HOOS questionnaire and score VAS for pain. The data was collected four times: before THR (at baseline, assessment A), and at a routine follow-up six to eight weeks after THR (assessment B), six months after THR (assessment C) and, finally, 12 months after THR (assessment D). In the consecutive assessments there were 148 (assessment B, 83%), 134 (C, 75%) and 135 patients (D, 75%).

The primary outcome was the change between assessments in the HOOS₄, a measure representing a mean score of four HOOS subscales (covering Pain, Symptoms, ADL, and QoL). The secondary outcomes included selected clinical parameters and the results of all five subscales of the HOOS, the TAS scores and the SF-36 physical component summary (PCS) and mental component summary (MCS), as well as pain intensity in VAS.

The mean HOOS₄ scores improved substantially within the first six to eight weeks after THR (at assessment B) and continued to improve in the consecutive assessments (C and D). The number of subjects with positive Trendelenburg test decreased with time achieving 39 (30%) at the assessment D. FR was achieved in 27% of patients while TF was identified in 16% patients.

Age between 63 and 72 years, and high preoperative SF-36 PCS scores were predictive factors for FR. Low preoperative SF-36 PCS (lower and middle tertile, ≤ 30.8) and MCS (low tertile, ≤ 35.9) scores may be considered as predictive for TF.

Based on the results obtained, it can be concluded that the patients who had undergone THR improved significantly over time within one-year follow-up. The vast majority of improvement occurred however in the first two months. Slightly more than one fourth of the participants achieved the hip-related health status equal to or better than gender- and age-matched population.