Dostępne online www.sciencedirect.com

ScienceDirect

journal homepage: www.elsevier.com/locate/pepo

**Tłumaczenie/Translation**
**Praca poglądowa/Review**

# Standardy opieki Europejskiego Towarzystwa Mukowiscydozy: zarządzanie jakością w zakresie mukowiscydozy

*Martin Stern* [1,*], *Dominique Pougheon Bertrand* [2], *Elizabetta Bignamini* [3], *Mary Corey* [4], *Birgit Dembski* [5], *Christopher H. Goss* [6], *Tanja Pressler* [7], *Gilles Rault* [8], *Laura Viviani* [9], *J. Stuart Elborn* [10], *Carlo Castellani* [11]

[1] *Uniwersytecki Szpital Dziecięcy, Tubingen, Niemcy*
[2] *Francuski Program Poprawy Jakości w zakresie mukowiscydozy, Paryż, Francja*
[3] *CFF Piemonte, Citta della salute e della scienza, Turyn, Włochy*
[4] *Szpital Dziecięcy, Uniwersytet w Toronto, Kanada*
[5] *Mukoviszidose eV, Berlin, Niemcy*
[6] *Oddział Pulmunologii i Intensywnej Opieki Medycznej, Wydział Medyczny, Ośrodek Medyczny Uniwersytetu w Waszyngtonie, Seattle, WA, USA*
[7] *Centrum Mukowiscydozy, Rigshospitalet, Kopenhaga, Dania*
[8] *Centrum Krajowych Ekspertyz w zakresie Mukowiscydozy, Nantes-Roscoff, Francja*
[9] *Dipartimiento di Scienze Cliniche e di Comunita, Uniwersytet w Mediolanie, Mediolan, Włochy*
[10] *Szkoła Medycyny, Stomatologii i Nauk Biomedycznych, Królewski Uniwersytet w Belfast, Irlandia Północna, Wielka Brytania*
[11] *Centrum Mukowiscydozy, Azienda Ospedaliera Universitaria Integrata, Werona, Włochy*

Przedrukowano i przetłumaczono z Journal of Cystic Fibrosis 2014 (13) „European Cystic Fibrosis Society Standards of Care: Quality Management in cystic fibrosis" s. S43–S59, Copyright 2016 za zgodą Elsevier B.V.

Reprinted and translated from Journal of Cystic Fibrosis 2014 (13) „European Cystic Fibrosis Society Standards of Care: Quality Management in cystic fibrosis" pp S43–S59, Copyright 2016 with permission from Elsevier B.V.

DOI artykułu oryginalnego: http://dx.doi.org/10.1016/j.jcf.2014.03.011

* *Adres do korespondencji*: Jednostka Mukowiscydozy, Uniwersytecki Szpital Dziecięcy, Hoppe-Seyler-Str. 1, 72076 Tubingen, Niemcy. Tel.: +49 7071 2983781; fax: +49 7071 294054.

Adresy email: martin.stern@med.uni-tuebingen.de (M. Stern), dominiquepougheon@orange.fr (D.P. Bertrand), ebignamini@cittadellasalute.to.it (E. Bignamini), mary.corey@sickkids.ca (M. Corey), bdembski@muko.info (B. Dembski), Cgoss@medicine.washington.edu (C.H. Goss), pressler@mail.dk (T. Pressler), gilles.rault@perharidy.fr (G. Rault), laura.viviani@unimi.it (L. Viviani).

http://dx.doi.org/10.1016/j.pepo.2016.08.009
0031-3939/

INFORMACJE O ARTYKULE

*Historia artykułu:*
Dostępne online: 25.08.2016

*Słowa kluczowe:*
- rejestry CF
- standardy
- modele opieki
- zarządzanie jakością
- wyniki w CF

*Keywords:*
- CF registries
- Standards
- Models of care
- Quality management
- Outcomes in CF

STRESZCZENIE

Od początków leczenia mukowiscydozy (CF) dane pacjentów były zapisywane oraz analizowane w celu identyfikacji czynników prowadzących do bardziej korzystnych skutków leczenia. Ogromne repozytoria danych, takie jak Rejestr Mukowiscydozy w USA, stworzony w latach 60. XX w., umożliwiły nagłośnienie sukcesów w leczeniu oraz wyników pacjentów, jak również wdrożenie programów poprawy przez specjalistyczne ośrodki CF. Większe ilości danych dostępne w bazach danych ośrodków i rejestrach pacjentów w ostatnich dekadach spowodowały, że możliwe stało się porównywanie różnych terapii, standardów opieki, a także rejestrowanie danych. Zaczęto skupiać się na standardach opieki nad poszczególnymi pacjentami na różnych poziomach: pacjenta, ośrodka, regionalnym, krajowym oraz międzynarodowym. Publikacja ta stanowi przegląd dotyczący zarządzania jakością oraz kwestii jej poprawy na każdym z wyżej wymienionych poziomów, ze szczególnym uwzględnieniem wskaźników zdrowia, roli ośrodków CF, sieci regionalnych, krajowych polityk zdrowotnych, a także rejestracji i porównania międzynarodowych danych.

## Spis treści

1. Wstęp . . . S61
2. Zarządzanie jakością na poziomie pacjenta . . . S63
   2.1. Zastosowanie danych rejestru . . . S63
   2.2. Podejście skoncentrowane na pacjencie . . . S63
   2.3. Raporty publiczne . . . S63
   2.4. Ocena jakości życia . . . S64
   2.5. Ocena satysfakcji pacjenta . . . S64
3. Zarządzanie jakością na poziomie ośrodka . . . S64
   3.1. Opieka w ośrodku, certyfikacja oraz recenzja peer-review . . . S64
   3.2. Modele opieki, dokumenty określające wspólne stanowisko . . . S65
4. Zarządzanie jakością na poziomie regionalnym i krajowym . . . S65
   4.1. Strategie opieki zdrowotnej . . . S65
   4.2. Strategie zarządzania jakością na poziomie krajowym . . . S66
   4.3. Grupy poprawy jakości oraz grupy edukacji i zarządzania . . . S66
   4.4. Ranking i nauka z najlepszej praktyki (dane porównawcze) . . . S66
   4.5. Wytyczne . . . S67
   4.6. Recenzja peer-review i programy akredytacyjne jakości . . . S67
   4.7. Systemy informacyjne na poziomie krajowym/regionalnym . . . S67
   4.8. Pomiary . . . S67
      4.8.1. Cykle PDSA . . . S68
5. Zarządzanie jakością na poziomie krajowym . . . S68
   5.1. Poprawa jakości . . . S68
   5.2. Rejestry w poprawie jakości . . . S68
   5.3. Wytyczne dla celów poprawy jakości w zakresie CF . . . S69
   5.4. Krajowe dane porównawcze w zakresie CF dla celów poprawy jakości . . . S69
   5.5. Rola poprawy jakości w badaniach przesiewowych noworodków . . . S69
6. Zarządzanie jakością na poziomie międzynarodowym . . . S70
   6.1. Porównania międzynarodowe: aktualny stan wiedzy . . . S70
      6.1.1. Wybór wskaźników i ich definicja . . . S70
      6.1.2. Cykle PDSA . . . S71
   6.2. Porównania międzynarodowe: wspólne stanowisko . . . S71
      6.2.1. Wybór wskaźników . . . S71
      6.2.2. Analiza danych i udostępnianie metadanych . . . S73

6.2.3. Zbieranie danych i wybór repozytorium . . . S75
6.2.4. Implementacja cykli PDSA i kierowanie procesami zarządzania jakością . . . S75
6.2.5. Zaangażowanie pacjenta w porównania międzynarodowe . . . S75
Konflikt interesu/Conflict of interest . . . S75
Podziękowania/Acknowledgement . . . S75
Piśmiennictwo/References . . . S75

## 1. Wstęp

Od samych początków terapii mukowiscydozy (CF) tworzono szczegółowe podsumowania dużych grup klinicznych w celu ustalenia i opisania najlepszego podejścia terapeutycznego w oparciu o poprawione wyniki [1, 2]. We wczesnych publikacjach dotyczących postępowania w CF podkreślano wagę kompleksowego podejścia do terapii, rutynowego monitorowania oraz konieczności skupienia uwagi na indywidualnych pacjentach i podgrupach prognostycznych. Zwracano wówczas uwagę na sytuację w jednym z dużych ośrodków, gdzie namiot do nebulizacji był uważany za kluczowy składnik terapii odpowiedzialny za niezwykłą przeżywalność pacjentów, co udokumentowane zostało w nowo utworzonym Rejestrze CF w USA [3, 4]. W ciągu następnej dekady okazało się jednak, że brakuje dowodów naukowych na korzystny efekt terapii z użyciem namiotu do nebulizacji [5]. Niemniej jednak, faktem były lepsze wyniki terapeutyczne i w końcu, bardziej odpowiednio, nacisk położono na kompleksowy pakiet postępowania, obejmujący wczesne rozpoznanie, edukację pacjenta i jego rodziców, częstość wizyt pacjenta, codzienną fizjoterapię oraz agresywną antybiotykoterapię. Również w tym okresie zaczęto skupiać się na wzroście i odżywieniu pacjentów. I w tym przypadku rozpoczęło się to od publikacji z dużych ośrodków, gdzie obserwowano lepsze wyniki u pacjentów z CF, którym zalecano stosowanie diety bogatej w tłuszcze w miejsce dotychczas stosowanej ubogotłuszczowej [6, 7]. Jednak możliwość stosowania normalnej diety oraz cel w postaci normalnego wzrostu u pacjentów z CF zyskały szersze uznanie dopiero wówczas, gdy zostały porównane dane z rejestru CF pochodzące z dwóch dużych ośrodków uniwersyteckich o podobnych danych demograficznych i podejściach do innych aspektów terapii [8].

Mimo że korzyści ze stosowania specyficznych terapii muszą być wspierane przez dane z dobrze kontrolowanych badań, wielką wartość ma kompilowanie i porównywanie wyników pochodzących z dużych populacji klinicznych w celu udokumentowania zmian w czasie, a także zidentyfikowania wzorców oraz praktyk, które mogą wiązać się z korzyściami lub wątpliwościami. Szczególnie ważne są krajowe rejestry, które obejmują w całości lub w przeważającej części chorych na CF w danym regionie. W USA od 1966 roku [9], a w Kanadzie od 1970 roku [10] działają krajowe, rocznie aktualizowane rejestry CF, głównie w celu opisywania wzorców populacyjnych diagnozy, demografii oraz śmiertelności. Przez lata dodawano do nich dodatkowe informacje w celu śledzenia ważnych korelacji dotyczących prognozy CF, takie jak czynność płuc i wzrost. Pod koniec ubiegłego wieku do rejestru CF w USA zaczęto wprowadzać podsumowania specyficzne dla danego ośrodka, co pozwoliło ośrodkom CF na określenie swoich wyników pod kątem kilku kluczowych pomiarów w zakresie od niskich do wysokich. W celu wspierania ośrodków we wspólnym wysiłku mającym na celu poprawę słabych wyników i naśladowania udanych terapii w ośrodkach ze stałymi pomiarami prezentującymi dobre wyniki utworzona została Inicjatywa Jakości Fundacji CF (CFF) [11]. Wiele krajów Europy, jak również Australia i Nowa Zelandia, utworzyło krajowe rejestry CF, aktualnie trwają również wysiłki mające na celu utworzenie europejskiego rejestru CF łączącego istniejące krajowe rejestry z danymi z krajów nieposiadających takich rejestrów [12]. W 2004 roku utworzono Rejestr Pacjentów Europejskiego Towarzystwa Mukowiscydozy [13], oparty na zdefiniowanych danych demograficznych i klinicznych. Późniejsze dane demograficzne z rejestrów CF zebrane podczas szóstego ramowego projektu Europejskiej Skoordynowanej Akcji (2006–2010) dostarczyły dowodów na rozbieżności w opiece pomiędzy krajami Europy Wschodniej i Zachodniej. Na początku 2013 roku uczestniczyło w nim 20 krajów Europy, co odpowiadało ponad 18 000 pacjentów z CF. Dostępne są coroczne raporty [14], a także przeprowadzono pierwszą kompleksową analizę [15].

Z upływem czasu wyewoluowało wiele programów zarządzania jakością, których główną motywacją były porównania między ośrodkami. Wczesny rozwój rejestru w Niemczech nazwano projektem Zapewnienia Jakości w zakresie CF (CFQA) [16] i miał on miejsce na długo, zanim pomysł opublikowania specyficznych dla ośrodków podsumowań zyskał akceptację w innych regionach. Podczas gdy większość rejestrów odnotowuje przeżycie pacjentów do wieku średniego, raport z Ameryki Południowej [17] stanowi trzeźwiące przypomnienie, że uwaga skierowana na jakość i dostarczaną opiekę ma kluczowe znaczenie.

Oprócz dużych baz danych ośrodków oraz krajowych rejestrów pojawiają się również inicjatywy firm farmaceutycznych mające na celu zebranie równoległych danych z dużych wieloośrodkowych badań lekowych w celu analizy efektów leczniczych w ramach fazy IV oraz badania innych czynników prognostycznych. Badanie Epidemiologiczne nad Mukowiscydozą (ESCF) [18] było wieloośrodkowym badaniem obserwacyjnym, w ramach którego zebrano duże ilości danych klinicznych dotyczących pacjentów w uczestniczących ośrodkach w USA i Kanadzie. Reprezentatywność i ciągłość ESCF zostały skomplikowane przez kwestie związane z finansowaniem, dlatego wiek i dystrybucja regionalna, a także wzorce w czasie nie zawsze były łatwe do zinterpretowania. Jednak analizy te z pewnością zwiększyły zainteresowanie w zakresie badań porównawczych oraz podjęły wiele kwestii, które będą dokładniej opracowywane przez analizę krajowych rejestrów, w miarę jak coraz więcej z nich będzie gotowych do uczestnictwa.

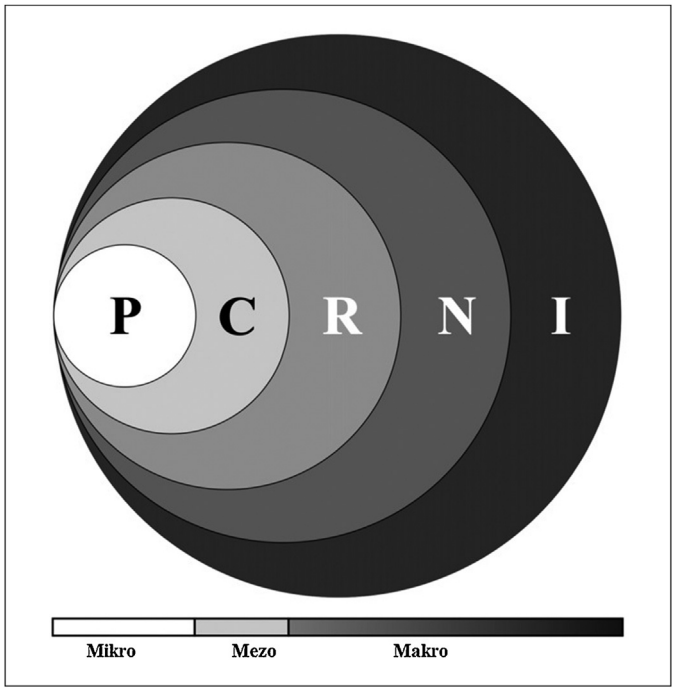
Na wczesnym etapie planowania takich badań należy zająć się kwestiami związanymi z poufnością danych

dotyczących pacjentów, a także kwestią autorów tych publikacji. Nie należy zakładać równoważności standardowych pomiarów w populacjach, nawet w obrębie populacji, co stanowi kolejne wyzwanie w zakresie porównań danych z rejestrów. Historię i kwestie związane z jakością danych porównawczych w zakresie opieki nad chorymi na CF z użyciem danych z rejestrów podsumowano w niedawnym przeglądzie autorstwa Schechtera [19].

Obecnie trwające badanie *Early Pseudomonas Infection Control* (Wczesna Kontola Infekcji *Pseudomonas* – EPIC) jest przykładem badania obserwacyjnego wspieranego częściowo i „z odległości" przez przemysł farmaceutyczny, łączącego kontrolę rejestrów z docelową populacją młodych Amerykanów z CF. Celem badania jest odpowiedź na konkretne pytania dotyczące wczesnych stadiów CF oraz opcji terapeutycznych [20]. Australijskie badanie przeprowadzone na pacjentach chorych na CF, u których chorobę wykryto w ramach przesiewowych badań noworodków, podkreśla trudność określenia pomiarów dla oceny progresji i – w ramach rozszerzenia – zarządzania jakością u najmłodszych pacjentów [21]. Kontrola dobrze zdefiniowanych grup młodych pacjentów z CF, zwłaszcza tych zdiagnozowanych w ramach badań przesiewowych noworodków, stanowi najlepszą szansę opisu i dopracowania najlepszych praktyk terapeutycznych [22].

Skuteczne zarządzanie jakością na wszystkich poziomach musi dostrzegać wkład i potrzeby wszystkich partnerów w tym procesie, począwszy od specjalistów medycznych i personelu opiekuńczego, po pacjenta i członków jego rodziny, a także analityków i osób interpretujących wyniki. Procesy dostarczenia danych i dostępu do nich muszą być przejrzyste i regularnie poddawane audytom. Należy zachować także równowagę pomiędzy procesem i proponowanymi wynikami, tak aby wszystkie ośrodki mogły w nim uczestniczyć na poziomie odpowiadającym ich rozmiarom, finansowaniu oraz stopniowi rozwoju. Analiza zmian w czasie i regionie, z rozpoznaniem znanych i potencjalnych przeszkód, dostarczy wiedzy i wskazówek dla ciągłej poprawy opieki i wyników w zakresie CF.

Zarządzenie jakością jest ściśle związane z celem poprawy jakości. Poprawa jakości w ochronie zdrowia została zdefiniowana jako „interdyscyplinarny proces mający na celu zwiększenie prawdopodobieństwa zapewniania najlepszej opieki zapobiegawczej, diagnostycznej, terapeutycznej i rehabilitacyjnej w celu utrzymania, przywrócenia lub poprawy wyników zdrowotnych indywidualnych pacjentów i całych populacji" [23]. Poprawa jakości jest nauką [24] i obejmuje liczne niezależne strategie mające na celu zmianę zachowań pacjenta i dostarczyciela opieki zdrowotnej, jak również przearanżowanie systemu audytowania i informacji zwrotnych, zarządzania przypadkami, wsparcia dla samozarządzania, rejestrów pacjentów i komputerowego wsparcia decyzji [25]. Jednak najbardziej podstawowe podejście obejmuje cykle iteracyjne pomiarów wyników,




**Ryc. 1 – Poziomy zarządzania jakością w CF. P, pacjent; C, Ośrodek zajmujący się chorymi na mukowiscydozę; R, regionalne zarządy, grupy jakości; N, krajowa polityka zdrowotna, rejestry, dane porównawcze; I, międzynarodowe wytyczne i zalecenia. Podejście Dartmouth ilustruje różne poziomy w opiece klinicznej: poziom mikrosystemu (pacjent, rodzinny zespół opieki w zakresie mukowiscydozy); poziom mezosystemu (szpital); oraz makrosystemu (organizacje zdrowotne, sieci, kierownictwo) [27]**

***Fig. 1 – Levels of quality management in CF. P, patient; C, cystic fibrosis Centre; R, regional governance, quality groups; N, national healthcare policy, registries, benchmarking; I, international guidelines and recommendations. The Dartmouth approach illustrates the different levels in clinical care: the microsystem level (patient, family cystic fibrosis care team); the mesosystem level (hospital); and the macrosystem (healthcare organizations, networks, governance) [27]***

identyfikacji problemów, implementacji potencjalnych rozwiązań i powtarzanych pomiarów [26].

Zarządzanie jakością w CF ma miejsce na różnych poziomach: pacjenta, ośrodka, regionalnym, krajowym i międzynarodowym (Ryc. 1). Podejście Dartmouth (systemu osadzonego w systemie) rozpoznaje różne poziomy opieki klinicznej: poziom mikrosystemu obejmuje pacjenta, jego rodzinę i specjalistyczny zespół opiekuńczy; poziom mezosystemu to szpital/ośrodek CF, gdzie dostarczana jest opieka; poziom makrosystemu obejmuje organizacje zdrowotne, sieci i ciała kierownicze [27]. Publikacja ta stanowi przegląd zarządzania jakością na każdym z opisanych poziomów.

## 2. Zarządzanie jakością na poziomie pacjenta

### 2.1. *Zastosowanie danych rejestru*

Pacjenci znajdują się w centrum wszystkich wysiłków mających na celu poprawę jakości opieki, a co za tym idzie – biorą oni czynny udział wraz z zespołami CF w ciągłym procesie poprawy jakości. Zastosowanie danych z rejestrów CF w codziennej opiece okazało się być pomocne w tym zakresie [28–31]. Klasyczne wskaźniki wyników opisujące stan odżywienia i czynność płuc są udostępniane przez pacjentów w miejscu odbywania wizyt [32] i mają pomóc w promowaniu różnych strategii poprawy jakości opieki, z pozytywnymi konsekwencjami dotyczącymi jakości życia i oczekiwanej długości życia.

### 2.2. *Podejście skoncentrowane na pacjencie*

Pacjenci stanowią cel opieki, ale również są ekspertami w zakresie życia z CF, a ich wiedza może uzupełniać wiadomości na temat CF posiadane przez specjalistów medycznych. Pacjenci i ich rodziny są zaangażowani w poprawę jakości na wszystkich poziomach, a ich współpraca jest jej podstawowym wymogiem. Pomiędzy partnerami powinien istnieć pełny szacunek, zaufanie i przejrzystość, wraz z istniejącą współodpowiedzialnością za sukces oraz stosowaniem się do zasad leczenia. Powinny między nimi istnieć również: otwartość i chęć nauki od siebie nawzajem.

Proces poprawy jakości obejmuje różne etapy. Ważnym warunkiem wstępnym jest dokumentacja elektroniczna sporządzana z zastosowaniem odpowiedniego oprogramowania (np. Port-CF, MUKO.dk, ECFS Registry). Odpowiednie dane i wskaźniki kontrolne mogą być grupowane lub prezentowane indywidualnie w celu ukazania zmian przed i po zastosowaniu środków terapeutycznych. Ta dokumentacja elektroniczna i wykresy kontrolne mogą być prezentowane informacyjnie na okresowych sesjach zespołowych i regularnych konferencjach w zakresie poprawy jakości, nakierowanych na indywidualnych pacjentów/rodziców.

Wytyczne międzynarodowe i krajowe stanowią podstawę różnych etapów terapii. Roczne cele terapeutyczne mogą być ustalane razem z pacjentem/rodzicami; można również tworzyć kontrakty terapeutyczne.

Na polu układu oddechowego i odżywienia pozytywne doświadczenia wskazują na udaną implementację kroków poprawy jakości u chorych na CF i grupach pacjentów. Na przykład, naturalnemu spadkowi natężonej pierwszosekundowej objętości wydechowej ($FEV_1$) [33, 34] można przeciwdziałać, stosując różne interwencje terapeutyczne, takie jak leczenie przeciwinfekcyjne i przeciwzapalne, a także nowo powstające terapie przeznaczone dla podgrup pacjentów [35–37]. Stosowanie się do wytycznych w zakresie układu oddechowego [38], a także edukacja i szkolenie lekarzy, rodzin i pacjentów [39] stanowią interwencje poprawiające jakość, a tym samym powodujące poprawę w zakresie ważnych wyników. Kluczowymi celami są: zapobieganie i wczesne leczenie zaostrzeń choroby. W tym celu pomocne jest umieszczenie w dokumentacji elektronicznej listy kontrolnej pacjenta, co zwiększa świadomość pacjenta na temat wczesnych objawów zaostrzenia. W dokumentacji elektronicznej powinny również zostać umieszczone przejrzyste dla pacjentów algorytmy dotyczące postępowania w przypadku spadku $FEV_1$, gdyż są one dodatkowym korzystnym instrumentem leczniczym.

Podobne doświadczenia odnotowywano w zakresie interwencji w kwestiach odżywienia. Wielu pacjentów nie stosuje się do wytycznych i zaleceń w zakresie odżywiania [40, 41]. Ma to negatywny wpływ na chorobę, ponieważ odpowiednie doradztwo w zakresie odżywania, zwiększony pobór kalorii oraz dobry stan odżywienia łączą się z korzystnymi wynikami. W pojedynczych przypadkach odpowiednie może być stosowanie indywidualnie dostosowanej strategii. Wysiłki dotyczące poprawy jakości mają na celu poprawę stanu odżywienia u chorych na CF oraz obejmują indywidualne i standaryzowane plany odżywiania, a także interwencje behawioralne i w zakresie odżywania [42, 43].

Dodatkowe projekty poprawy jakości, takie jak tworzenie sieci ośrodków opieki, projekty indywidualnej poprawy jakości, wysiłki grupowe i dane porównawcze są oparte na łączeniu danych pacjentów, danych z rejestrów i wysiłków indywidualnych. Istnieje tu również przestrzeń na zdalną pomoc zdrowotną oraz inicjatywy podejmowane przez pacjentów. Dlatego też poprawa jakości na poziomie pacjenta jest centralną i decyzyjną częścią zarządzania jakością w zakresie CF, uzupełnianą przez dalsze i szersze podejścia na innych poziomach.

### 2.3. *Raporty publiczne*

Odpowiednia opieka w zakresie CF i ciągła poprawa w zakresie zarządzania klinicznego są niezbędne do poprawy dobrostanu i jakości życia pacjentów z CF [44]. Rejestry pacjentów mają najwyższe znaczenie nie tylko z punktu widzenia ekspertów, ale również z perspektywy pacjentów. Nie tylko dostarczają one wiarygodnych i porównywalnych danych w danym kraju, ale również stanowią wartościowe narzędzie do promowania odpowiedniej opieki nad chorymi na CF. Dane z rejestrów powinny być dostępne dla pacjentów i krajowych urzędów zdrowotnych [45]. W wielu krajach Europy CF – choroba rzadko występująca – walczy o adekwatne finansowanie z budżetu państwa. Ważne jednak jest, aby dane były prezentowane w sposób przyjazny dla pacjentów [46], a także aby reprezentanci pacjentów byli wyszkoleni w ich interpretacji.

W USA wyniki pacjentów w każdym ośrodku CF są dostępne publicznie od 2006 roku (adres strony internetowej:

www.cff.org//CCNP/CareCenterSelector/Index.cfm). Co ciekawe, wysiłek ten nie spowodował istotnych przemieszczeń pacjentów do ośrodków o lepszych wynikach.

### 2.4. *Ocena jakości życia*

W ciągu ostatnich 20 lat powstały liczne narzędzia służące do pomiaru stanu zdrowia pacjentów oraz oceny ich samopoczucia i czynności w odniesieniu do ich warunków zdrowotnych [47]. Kwestionariusze do pomiaru jakości życia u chorych na CF (poprawiony kwestionariusz CF [CFQ-R] oraz Kwestionariusz Dotyczący Jakości Życia Chorych na Mukowiscydozę [CFQoL]) są uważane na sprawdzone narzędzia z wykazaną wiarygodnością, trafnością wewnętrzną oraz czułością. Jako że zaostrzenia ze strony układu oddechowego wiążą się z bardziej nasilonymi objawami infekcji płuc i gorszą percepcją stanu zdrowia, kwestionariusze te stanowią ważne narzędzie stosowane wśród innych punktów końcowych (pomiary efektywności klinicznej, zastępcze punkty końcowe lub biomarkery) wraz z pytaniami klinicznymi oraz krajowymi i międzynarodowymi ankietami [48]. Europejska Agencja Medyczna zaleca stosowanie pomiarów jakości życia związanej ze zdrowiem w badaniach klinicznych dotyczących CF, jako dodatkową korzyść obok wykazywania skuteczności leczenia [49].

### 2.5. *Ocena satysfakcji pacjenta*

„Pacjenci czują się pewnie, gdy opiekuje się nimi personel medyczny doświadczony pod względem opieki nad osobami z ich chorobą" [50]. Dlatego też w wielu krajach trwają prace nad stworzeniem pomiarów poprawy jakości, które zaczynają się od satysfakcji pacjenta. W Niemczech przeprowadzono badanie o krajowym zasięgu oceniające doświadczenia i satysfakcję pacjentów w zakresie opieki otrzymywanej w ośrodkach [51]. Odsetek odpowiedzi na poziomie 71–74% stanowi dowód na zainteresowanie pacjentów wkładem w poprawę jakości ich opieki.

Jednakże pomiary poprawy jakości skupione na satysfakcji pacjenta są użyteczne jedynie wtedy, gdy ich wyniki są omawiane pomiędzy zespołami oraz reprezentantami pacjentów. Sposobem organizacji takiej ciągłej refleksji jest stworzenie spotykających się regularnie grup dyskusyjnych. Takie grupy dyskusyjne mogą również stanowić proste narzędzie służące poprawie zarządzania opieką w tych krajach, w których ocena jakości i pomiary poprawy na poziomie krajowym dopiero raczkują. Grupy dyskusyjne wymagają dużo dobrej woli ze strony opiekunów, jak również wyszkolenia zaangażowanych reprezentantów pacjentów.

Podsumowanie elementów skoncentrowanego na pacjencie zarządzania jakością przedstawiono w tabeli I.

**Tabela I – Zarządzanie jakością skoncentrowane na pacjencie**
***Table I – Patient-centred quality management***

| Praktyczne punkty i narzędzia |
|---|
| • Elektroniczna dokumentacja pacjenta<br>• Kontrolne wykresy pacjenta<br>• Sesje zespołów opieki nad chorymi z CF, omówienie pojedynczych przypadków<br>• Ustalenie celów w zakresie jakości<br>• Listy kontrolne pacjenta i ośrodka<br>• Stosowanie się do zaleceń<br>• Planowane interwencje<br>• Edukacja i szkolenia lekarzy, rodzin i pacjentów |
| CF – mukowiscydoza |

**Pytania i odpowiedzi**

*Na czym polega wkład elektronicznej dokumentacji pacjenta oraz wykresów kontrolnych w zarządzanie jakością w opiece nad chorymi z CF?*

Elektroniczna dokumentacja pacjenta oraz wykresy kontrolne stanowią podstawę wymiany danych pomiędzy pacjentami, dla porównania indywidualnego, tworzenia wykresów ośrodków oraz definiowania celów terapeutycznych.

*W jaki sposób można dokonywać odpowiednich pomiarów w zakresie układu oddechowego i odżywienia w opiece nad chorymi z CF oraz dokonywać ich indywidualnej kontroli?*

Najlepsza praktyka może być osiągnięta, a indywidualne cele – określone i spełnione przez podążanie za krajowymi i międzynarodowymi standardami oraz definicjami, a także przez stosowanie zdefiniowanych wartości prawidłowych w różnych kohortach wiekowych.

*Na czym polega wkład danych dotyczących jakości życia pochodzących od pacjentów oraz kwestionariuszy satysfakcji pacjentów w zakresie pracy nad poprawą jakości?*

Dane dotyczące jakości życia pochodzące od pacjentów stanowią ważny subiektywny dodatek do opisu jakości na poziomie satysfakcji i stosowania się do zaleceń. Kwestionariusze satysfakcji pacjentów otwierają dodatkowy wymiar interakcji w zakresie poprawy jakości pomiędzy pacjentem a ośrodkiem CF.

## 3. Zarządzanie jakością na poziomie ośrodka

### 3.1. *Opieka w ośrodku, certyfikacja oraz recenzja peer-review*

Opieka otrzymywana w ośrodku CF oraz stosowanie krajowych i międzynarodowych rejestrów pacjentów stały się niezbędnymi elementami opieki zdrowotnej oraz wymiany informacji na polu CF w wielu krajach. Od 1995 roku w ramach projektu CFQA przeprowadzanego w Niemczech zbierano dane demograficzne i wyniki, a sam rejestr przekształcił się ze standardowego rejestru w narzędzie zarządzania jakością. Niemiecki projekt CFQA stanowi również szkielet wspierający grupy zapewnienia jakości jako projekt wzorcowy [30]. Zarządzanie jakością stanowi teraz główne narzędzie w ośrodkach CF i jest utrzymywane przez rejestry krajowe. Analiza danych rejestru mogłaby prowadzić do certyfikowania ośrodków CF, jak również do kierowanego planowania struktur i strategii w opiece nad chorymi na CF. Mogłaby ona również służyć za podstawę akcji politycznej w systemie opieki zdrowotnej oraz poprawy świadomości w zakresie jakości na wszystkich poziomach (indywidualnym, ośrodków, grup jakości, politycznym, instytucji charytatywnych) [52].

W ramach programu recenzji naukowej typu *peer-review* Funduszu CF dokonywana jest ocena usług w odniesieniu

do krajowych standardów opieki, identyfikacja niedoborów oraz pomoc w zakresie poprawy opieki dostarczanej w ramach świadczeń chorym na CF. W ramach poprawionego programu na 2012 rok raporty recenzji *peer-review* będą dostępne publicznie po raz pierwszy, dostarczając tym samym kompleksowych, niezależnie weryfikowanych informacji dotyczących wyników indywidualnych świadczeń dostarczanych chorym na CF [53].

Zaleca się obecnie, by chorymi na CF opiekował się w specjalistycznym ośrodku CF wielodyscyplinarny zespół lekarzy specjalistów, pielęgniarek oraz współpracujących specjalistów.

### 3.2. *Modele opieki, dokumenty określające wspólne stanowisko*

Nakreślono różne modele opieki. W różnych krajowych i międzynarodowych dokumentach określających wspólne stanowisko (włączając w to Ramowy dokument ośrodka) zdefiniowano ośrodek CF, określono liczbę pacjentów w nim leczonych (dolny i górny limit), jak również liczbę i doświadczenie personelu [50, 54, 55].

**Pytania i odpowiedzi**

*Czy istnieje krajowa definicja specjalistycznego ośrodka CF? Czy istnieje zgodność co do liczby pacjentów oraz wymaganych poziomów personelu w ośrodkach CF?*

Poziom doświadczenia wymagany do leczenia złożonych wielosystemowych objawów oraz powikłań CF może być osiągnięty jedynie przez wielodyscyplinarny zespół składający się z wyszkolonych, doświadczonych profesjonalistów medycznych, którzy na co dzień spotykają się z dużą liczbą pacjentów w specjalistycznym ośrodku CF.

*Czy istnieje zgodność w zakresie kluczowych markerów oceny wyników specjalistycznych ośrodków?*

Poniżej wymieniono przykładowe kluczowe markery stosowane w wielu krajach:

a) badania mikrobiologiczne, odsetek nowych i przewlekłych infekcji, dane dotyczące czynności płuc, grupy wiekowe
b) dane dotyczące odżywienia (centyl wskaźnika masy ciała, wskaźnik masy ciała, grupy wiekowe)

(Dalsze informacje: rozdział 6)

*W jaki sposób zbieranie danych i publiczne raporty danych dotyczące opieki w ośrodku mogą stanowić część inicjatywy poprawy jakości?*

Partnerska relacja pomiędzy pacjentami i opiekunami może być wzmocniona poprzez udostępnianie danych. Analiza danych oraz utworzenie krajowych programów recenzji *peer-review* mogą być stosowane do certyfikacji indywidualnych ośrodków CF. Może to również stanowić podstawę dla akcji politycznej w systemie opieki zdrowotnej oraz dla poprawy świadomości w zakresie jakości na wszystkich poziomach.

## 4. Zarządzanie jakością na poziomie regionalnym i krajowym

Fundamentalnym wymogiem istnienia funkcjonalnego i skutecznego systemu opieki zdrowotnej jest dla wszystkich – pacjentów, rodzin, płatników, specjalistów opieki zdrowia, liderów systemu opieki zdrowia oraz społeczności – otrzymywanie lepszych wyników pacjentów, lepszy rozwój i edukacja specjalistów oraz lepsze wyniki organizacji ochrony zdrowia [56]. Jakość i bezpieczeństwo są konsekwencjami funkcjonalnej interakcji pomiędzy personelem medycznym oraz pacjentami na poziomie mikrosystemu, ale wpływ na nie mają zasoby fizyczne, adekwatność finansowania oraz strategie opieki zdrowotnej.

### 4.1. *Strategie opieki zdrowotnej*

Strategie zdrowia publicznego na poziomie makrosystemu (na poziomie regionalnym lub krajowym, w zależności od kraju) obejmują: 1) organizacje zajmujące się akredytacją jakości opieki w oparciu o ocenę profesjonalnej praktyki; 2) zarządzanie ryzykiem, na przykład w celu zmniejszenia zachorowalności na choroby jatrogenne oraz poprawy zapobiegawczych środków higienicznych; 3) profesjonalny rozwój poprzez ciągłe szkolenia i nagrody.

Strategie prywatne, takie jak te stosowane przez firmy farmaceutyczne lub fundacje pacjentów i rodzin, mogą uzupełniać lub zaburzać krajowe strategie opieki zdrowotnej. Krajowe lub regionalne strategie opieki zdrowotnej oraz inicjatywy prywatne muszą łączyć się w spójne zachęty w celu utrzymania zaangażowania profesjonalistów w zakresie ciągłej poprawy jakości w czasie. Przykładem tego jest związek pomiędzy badaniami przesiewowymi noworodków oraz następczą opieką nad nowo zidentyfikowanymi pacjentami w ośrodku w oparciu o wspólne stanowisko [57].

Z punktu widzenia europejskiej strategii opieki zdrowotnej CF jest klasyfikowana jako „rzadka choroba" (tj. występująca z częstością mniejszą niż 5 na 10 000 osób) zgodnie z „Regulacją (EC) Nr 141/2000 Parlamentu Europejskiego oraz Rady z 16 grudnia 1999 w sprawie sierocych produktów medycznych". Pod tym względem ośrodki CF powinny pozostawać w zgodności z wytycznymi Komisji Ekspertów UE ds. Chorób Rzadkich dla „Ośrodków chorób rzadkich", tak aby mogły z nimi współpracować w ramach Europejskich Sieci Referencyjnych ds. Chorób Rzadkich. Ten pomiar na poziomie makrosystemu ma znaczenie, ponieważ choroby rzadkie (a więc i CF) otrzymały specjalny status w Artykułach 54-55 europejskiej „Dyrektywy 2011/24/EU Parlamentu Europejskiego i Rady z dnia 9 marca 2011 roku w sprawie stosowania praw pacjentów w transgranicznej opiece zdrowotnej". Taki specjalny status jest potencjalnie bardzo ważny dla ośrodków CF zlokalizowanych na terenie Unii Europejskiej pod względem refundacji opieki nad chorymi na CF dostarczanej z innego kraju członkowskiego, włączając w to zapewnianie lub udostępnianie między krajami specjalistycznych umiejętności, wymianę personelu, jak również w wybranych przypadkach przekazywanie chorych na CF (np. w tych przypadkach, w których otrzymywaliby oni z korzyścią wysoko wyspecjalizowaną opiekę w ośrodku dysponującym lepszymi zasobami albo gdy warunki lokalne byłyby tymczasowo niekorzystne, albo w przypadku pacjentów z mniej uprzywilejowanych regionów Unii Europejskiej). W końcu, status choroby rzadkiej ułatwia również rozwój i rejestrację sierocych produktów

**Tabela II – Europejskie strategie i doświadczenia zarządzania jakością**
***Table II – European quality management strategies and experiences***

| Kraj | Strategie zarządzania jakością | Zasady – inicjatywy |
|---|---|---|
| Francja | LLC i najlepsza praktyka | Ciągły profesjonalny rozwój |
| Niemcy | Dane porównawcze oraz najlepsza praktyka, certyfikacja ośrodków | Jakość wyników pacjentów |
| Włochy | Recenzja *peer-review* i akredytacja | Zaangażowanie pacjenta i rodziny w proces recenzowania |
| Wielka Brytania | Recenzja *peer-review* i LLC (wizyty w ośrodkach) | Jakość wyników pacjentów i procesów (stosowanie się do wytycznych) |

LLC – grupa edukacji i zarządzania.

medycznych (np. terapii modulujących CFTR), odpowiednio przez przemysł oraz Europejską Agencję Leków.

### 4.2. *Strategie zarządzania jakością na poziomie krajowym*

Jak pokazują dane z analizy danych demograficznych EuroCareCF z 35 krajów, nie istnieje pojedyncza strategia ani podejście, które działa w każdej sytuacji. Jednakże istnieją zasady mogące pomóc w rozwoju strategii dostosowanej do sytuacji w danym regionie [58]. Strategia jest procesem, sposobem zgody na to, co należy zrobić i kto ma tego dokonać, a także dalszej realizacji pracy cechującej się wysoką jakością [59]. Strategie i doświadczenia z wielu krajów Europy przedstawiono w tabeli II.

### 4.3. *Grupy poprawy jakości oraz grupy edukacji i zarządzania*

Grupy edukacji i kierownictwa (LLC) obejmują kilka ośrodków w rocznym programie poprawy jakości. Programy te oparte są na Mikrosystemowym Podejściu Klinicznym Instytutu Dartmouth (mającym na celu przyspieszenie tempa poprawy jakości w opiece nad chorymi na CF) oraz obejmują szkolenia i trening wielodyscyplinarnych zespołów opiekuńczych w czterech fazach.

- Faza przygotowania
- Analiza 5P (tj. produkt, cena [*price*], program, proces, ludzie [*people*]) oraz ocena ośrodka
- Faza działania oraz
- Faza przejścia.

Systemy opieki zdrowotnej w USA, Niemczech, Szwecji i Wielkiej Brytanii dążą do poprawy jakości poprzez strategie edukacji. Wyniki kliniczne przypisywane inicjatywom mającym na celu poprawę jakości (QILC) obejmują: identyfikację i przyjęcie systematycznie badanych praktyk opartych na dowodach naukowych, obniżenie odsetków infekcji noworodków, wrażliwe na koszty praktyki przepisywania leków, zwiększone bezpieczeństwo pacjentów, obniżony czas oczekiwania w oddziale ratunkowym oraz poprawę postępowania z pacjentami chorymi na przewlekłe choroby [19, 29, 60].

Kluczowymi czynnikami wiążącymi się z udaną współpracą dla poprawy jakości są: dostępność zasobów wspierających zmiany, wielodyscyplinarne zaangażowanie, ustalone cele i plan działania oraz kluczowa rola kierownictwa. Warunki te są zależne od osobistego kontaktu pomiędzy uczestnikami, obecności szerokich sieci, wzajemnego szacunku pomiędzy wszystkimi zaangażowanymi, dostępności danych oraz współdzielenia informacji. Różnorodność w zakresie członków wzmacnia współpracę poprzez dostarczanie szerokiego zakresu perspektyw [61].

LLC zostały stworzone przez CFF (USA) [2]. Mikrosystemowe Podejście Kliniczne Instytutu Dartmouth stosowano jako ramy dla poprawy jakości opieki nad chorymi na CF w USA. W ramach modelowania inicjatywy poprawy jakości US-CFF, zainicjowano pilotową QILC we Francji w 2011 roku oraz wykazano, że podejście amerykańskie, włączając w to krajową koordynację i trening, jest odpowiednie [62] z kilkoma poprawkami, a konkretnie potrzebą obecności członka personelu działającego na niepełny etat w każdym ośrodku, który pełniłby rolę lokalnego trenera, pracując blisko z liderem lekarzy zespołu CF.

Zewnętrzna ocena podkreśliła obecność przeszkód, takich jak ograniczony czas i zasoby, personel i zmiany organizacyjne, a także brak dokładnych i aktualnych informacji służących do pomiaru wyników [19, 62]. Te niedociągnięcia były pozytywnie zrównoważone przez czynniki sukcesu, głównie motywację zespołu, kulturę opieki skoncentrowanej na pacjencie, zaangażowanie pacjentów i rodziców, kierownictwo lekarza oraz jasno uzgodnione cele.

### 4.4. *Ranking i nauka z najlepszej praktyki (dane porównawcze)*

Dane porównawcze obejmują identyfikację programów ochrony zdrowia wiążących się z najlepszymi wynikami jako środków do identyfikacji i rozprzestrzeniania skutecznych strategii opieki [56, 60]. Zróżnicowane procesy i wyniki wskazują na różnice w skuteczności dostarczanej opieki oraz stanowią okazję do uzyskiwania wiedzy o poziomie sukcesu, który może zostać uzyskany za pośrednictwem aktualnie dostępnych terapii.

W ramach danych porównawczych dotyczących jakości w CF stosowane są kluczowe oceny w zakresie odżywienia i układu oddechowego, takie jak wskaźnik masy ciała (BMI), $FEV_1$%, status bakteriologiczny oraz powikłania. Rejestry pacjentów obejmują coroczne dane pochodzące z danych zbieranych na każdej wizycie w ośrodku CF. Tam, gdzie istnieją rejestry pacjentów z danymi wysokiej jakości, ranking ośrodków dostarcza możliwości identyfikacji potencjalnie najlepszej praktyki leczenia chorych na CF.

Następnym krokiem jest próba określenia tego, w jaki sposób zidentyfikowane ośrodki osiągnęły swój wysoki poziom [19, 31]. CFF US wspierała program wzorcowy, w ramach którego użyto danych rejestru w celu identyfikacji doskonałych klinicznie ośrodków CF, a następnie analizowano ich strukturalne i organizacyjne cechy, a także

konkretne praktyki mające wpływ na ich wyniki. Podstawowa zasada mówiła, że praktyki i/lub cechy zidentyfikowane w ośrodkach o znakomitych wynikach są nie tylko markerami tych rezultatów, ale i prowadzą do nich, co można przełożyć i zastosować w ośrodkach, które nie prezentują tak dobrych wyników.

Próby ustalenia najlepszej praktyki są komplikowane przez różne przeszkody [19]. Należy zwracać uwagę na błędy systematyczne pomiędzy ośrodkami wynikające z mieszania przypadków. Na przykład ośrodek kontrolujący pacjentów z proporcjonalnie łagodniejszymi mutacjami może wykazywać lepsze wskaźniki niż ten, który zajmuje się poważniejszymi przypadkami (np. osobami zarejestrowanymi na liście oczekujących na przeszczepienie). W ośrodkach z niewielką liczbą pacjentów może występować większe zróżnicowanie w zakresie wskaźników w zależności od stanu zdrowia zaledwie kilku pacjentów. Ośrodki opieki nad dorosłymi otrzymują pacjentów poprzez programy prowadzone na pacjentach pediatrycznych, co określa podstawowy status choroby, jak również stan edukacji pacjentów. Czynniki socjoekonomiczne mają wpływ na populacje pacjentów w niektórych ośrodkach w zależności od ich położenia. Ważne jest, aby rozważyć dostosowania w zakresie wymieszania przypadków w celu kontrolowania nieproporcjonalnej dystrybucji socjodemograficznych i specyficznych dla choroby czynników ryzyka w niektórych programach i lokalizacjach, nawet jeśli miałoby to wprowadzić nowy błąd systematyczny do porównania.

Poza danymi z rejestrów, w pracy porównawczej pojawiły się inne kluczowe tematy: 1) obecność dobrze funkcjonującego zespołu opieki działającego w ramach dobrze przemyślanego systematycznego podejścia, sprawujacego stałą opiekę; 2) wysokie oczekiwania względem wyników ze strony personelu medycznego i rodzin; 3) wczesne i agresywne postępowanie, unikanie stosowania terapii ratunkowych; 4) pacjenci/rodziny, którzy są zaangażowani, o wzmocnionej pozycji oraz dobrze poinformowani o postępowaniu w chorobie i jego uzasadnieniu [63].

Do najczęściej stosowanych kryteriów w procesie porównawczym i recenzji *peer-review* zalicza się:

- kierownictwo lekarza;
- wielodyscyplinarny zespół opieki;
- dostęp do opieki;
- kontrolę infekcji;
- jakość testu potowego;
- wytyczne opieki kontrolnej;
- ankietę satysfakcji pacjenta i rodziny.

### 4.5. *Wytyczne*

Opieka nad chorymi na CF na poziomie krajowym/regionalnym musi przyjąć do lokalnego kontekstu międzynarodowe wytyczne (na USA i Europę). Przyjęcie oznacza przełożenie ich na lokalny język, adaptację do kontekstu organizacji zapewniającej opiekę, rozprzestrzenienie oraz ocenę ich implementacji w ośrodkach CF. Udane doświadczenie [39] zapożyczenia międzynarodowych wytycznych ilustruje przykład Szpitala Dziecięcego Cincinnati, który stworzył ramy stosowania się do wytycznych przepisywania leków w warunkach poradni, szkolenia lekarzy i współdzielenia celów z rodzinami.

### 4.6. *Recenzja peer-review i programy akredytacyjne jakości*

Programy recenzji *peer-review* upoważniają specjalistów do monitorowania jakości opieki nad pacjentami w celu identyfikowania możliwości jej poprawy. Są one zaprojektowane w celu monitorowania jakości usług ochrony zdrowia oferowanych pacjentom, identyfikacji możliwości poprawy wyników pacjentów oraz wykrywania i zapobiegania pomyłkom lekarskim [64].

W zakresie UE istnieją różne programy akredytacyjne poprawy jakości obejmujące metodę recenzji *peer-review*. Wykazano, że przygotowywanie oraz przechodzenie procesu akredytacji promuje zmiany w organizacjach opieki zdrowotnej. Jest to ważne dla:

- zapewnienia minimalnego standardu opieki w każdym ośrodku; standard musi być ustalony na maksymalnie osiągalnym poziomie w kontekście krajowym/regionalnym w celu stymulacji poprawy w czasie;
- popierania wzorowej opieki, wspierania rozwoju ośrodków;
- wspierania nowych ośrodków rozpoczynających działalność;
- poprawy wyników klinicznych.

Według kluczowego zalecenia, na poziomie krajowym/regionalnym należy stworzyć wielodyscyplinarną komisję, obejmującą również pacjenta i przedstawicieli jego rodziny, w celu rozpoczęcia i rozwoju programów akredytacyjnych recenzji *peer-review* zgodnie z opublikowanymi standardami europejskimi. Programy te powinny zostać dostosowane do lokalnych potrzeb i zasobów, w celu stymulacji poprawy ośrodków CF w czasie. W tabeli II przedstawiono przykłady krajowych programów recenzji *peer-review*.

### 4.7. *Systemy informacyjne na poziomie krajowym/regionalnym*

Zgodnie z wytycznymi Światowej Organizacji Zdrowia (WHO) [65], systemy informacyjne powinny stale mieć zastosowanie w całym programie poprawy jakości, tak aby możliwe było porównanie pomiędzy wynikami oraz postęp wszystkich zaangażowanych w program. Te systemy informacyjne muszą być również przejrzyste, tak aby możliwie jak największa liczba zainteresowanych miała dostęp do tych samych danych. Zakres informacji obejmuje: dostęp pracowników opieki zdrowotnej do informacji dotyczących najlepszej praktyki; sposób, w który informacje są przekazywane adresatom usług przez osoby sprawujące opiekę; a także dostęp społeczności i pojedynczych pacjentów do informacji, które pomogą im w postępowaniu zdrowotnym. Każdy z tych obszarów może wymagać zmiany w ramach części strategii poprawy jakości [65].

### 4.8. *Pomiary*

Kluczowe wskaźniki i ich aktualne wartości są udostępniane pomiędzy zaangażowanymi ośrodkami, pacjentami i rodzinami w trakcie rocznego wspólnego programu poprawy

**Tabela III – Narzędzia i metody stosowane w celu osiągnięcia poprawy jakości [56]**
***Table III – Tools and methods to achieve quality improvement [56]***

- Nakreślenie procesu ochrony zdrowia
- Zbieranie danych w czasie w celu udokumentowania różnic w opiece i wynikach klinicznych
- Dokumentacja niechcianych i niepotrzebnych różnic
- Zbieranie informacji w zakresie wiedzy klienta/beneficjenta (np. pomiary obciążenia chorobą, stanu czynnościowego, jakości życia; ocena jakości opieki przez jej adresatów)
- Szerokie udostępnianie informacji
- Poprawa komunikacji przez tworzenie zespołów i wzmacnianie szkolenia grup przez konkretne umiejętności (np. sytuacja, kontekst, ocena, zalecenia [SBAR])
- Stworzenie planu obejmującego: kierowanie, podążanie za i dokonywanie zmian w ochronie zdrowia
- Budowanie wiedzy (użytecznej lokalnie), a następnie przejmowanie inicjatywy, działanie adaptacyjne, przegląd i refleksja
- Przeprowadzanie małych testów zmian (np. cykle Zaplanuj-Wykonaj-Zbadaj-Działaj)

jakości. Sprzyja to ujednoliceniu i kontroli jakości danych w ośrodkach. Wyniki powinny być dokładnie interpretowane oraz należy zastosować pomiary naukowe w celu zidentyfikowania trendów i czynników zmienności dla dokładnego monitorowania pracy nad poprawą jakości [66].

Kluczem do ciągłej poprawy jakości jest skupienie uwagi na pomiarach w czasie cykli PDSA (Zaplanuj-Wykonaj-Zbadaj-Działaj) oraz na istniejących przyczynach zmienności pomiarów pomiędzy ośrodkami [60, 66].

#### 4.8.1. *Cykle PDSA*

Zarządzanie jakością odbywa się z zastosowaniem cykli PDSA, prowadzących od planu poprawy jakości (zaplanuj), poprzez odpowiednie pomiary i przegląd wskaźników jakości mające na celu zmiany w zakresie praktyk (wykonaj), znajdowanie najlepszej praktyki (zbadaj), aż do wdrażania nowych kroków w zakresie poprawy jakości, spełniających standardy i wytyczne oraz osiągnięcia celów w zakresie jakości (działaj).

Wyniki inicjatyw na rzecz poprawy jakości nie są przedstawiane w ten sam sposób jak tradycyjne badania kliniczne. Raporty poprawy jakości zajmują się „nieuporządkowanymi" problemami, obejmują bardziej złożone interwencje i wymagają dużo większego skupienia uwagi na kontekście. „Nieuporządkowanie" problemów w zakresie poprawy jakości jest odbiciem rzeczywistości i skupienia na rutynowej opiece, a nie na kontrolowanym środowisku badania klinicznego. Na przykład, projekt poprawy może poruszać następujące zagadnienie: czy wyniki pacjenta mogą zostać poprawione poprzez zmianę systemu skierowań i wizyt w celu zapewnienia odpowiedniego dostępu i lepszej koordynacji pomiędzy specjalistami i usługami podstawowej opieki? [67]

Korzystanie z corocznego raportu wyników pacjentów tworzonego w oparciu o jedną wartość pochodzącą z różnych pomiarów w roku i wydanego kilka miesięcy po zakończeniu okresu nie jest odpowiednie w ramach wysiłków na rzecz poprawy. Bieżące dane uaktualniane na każdej wizycie i przedstawiane na wykresach obejmujących ewolucję procesów, zapewnianie opieki i wyniki pacjentów są kluczowe dla dostarczania informacji zwrotnej dotyczącej implementacji leczenia/planów poprawy usług. Wymaga to istnienia systemu informacyjnego w zakresie CF w celu regularnego zbierania danych pacjentów oraz śledzenia opieki zapewnianej na każdej wizycie, a także zarządzania bazą danych wydającą cotygodniowe, comiesięczne i cokwartalne raporty dla zespołu.

Standaryzacja, zakończenie i kontrola jakości danych zbieranych w ośrodkach są kluczowe dla znaczenia pomiarów. Część poprawy wykazanej przez wskaźniki pochodzi z wyższej jakości zebranych danych. BMI lub $FEV_1$% w znaczącym stopniu zależą od warunków dokonywania pomiaru (np. przed lub po posiłku, w zależności od używanej wagi, przed lub po fizjoterapii).

W ciągu ostatnich 20 lat pojęcie poprawy w zakresie systemów ochrony zdrowia przekształciło się z odgórnej kontroli, stosowania się do zaleceń i kar, w oddolny rozwój, samoregulację i zachęty. Pomiary jakości zmieniły się z wkładu zasobów w realizację wyników. Nacisk nie jest już kładziony na kontrolę i ocenę jakości, ale na definiowanie wspólnie ustalonych i odpowiednich standardów, systematyczne i wiarygodne pomiary działania, implementację zmian, powtarzane pomiary oraz ciągłą poprawę w cyklu lub spirali wzrostu [68]. Dlatego też nowe narzędzia poprawy jakości – dane porównawcze, edukacja na podstawie najlepszej praktyki, cykle PDSA, LLC i akredytacja – są bardziej odpowiednie w celu osiągnięcia poprawy jakości w zakresie CF. Metody te przedstawia tabela III.

## 5. Zarządzanie jakością na poziomie krajowym

### 5.1. *Poprawa jakości*

Nierzadko zdarza się, że lekarze w konkretnych warunkach klinicznych nie przepisują zalecanego leczenia; powody niedostatecznego stosowania zalecanych skutecznych terapii często są specyficzne dla miejsca i wiążą się z barierami strukturalnymi lub edukacyjnymi. Identyfikacja i interwencja dotycząca barier w zakresie zmian w opiece jest możliwa poprzez wielokrotny proces poprawy jakości.

### 5.2. *Rejestry w poprawie jakości*

W celu rozpoczęcia pracy nad poprawą jakości należy zmierzyć zakres problemu klinicznego. Jednym z kluczowych komponentów poprawy jakości jest dostęp do wysokiej jakości danych dotyczących charakterystyki pacjentów, leczenia i wyników klinicznych. Źródłami tych danych były rejestry pacjentów. Rejestry umożliwiają badaczom i osobom zainteresowanym dokumentację różnic w opiece tam, gdzie nie byłyby one oczekiwane. CF jest idealna do oceny badań nad poprawą jakości z powodu istnienia w wielu

krajach złożonych rejestrów pacjentów. Niektóre z najwcześniejszych rejestrów pacjentów chorych na CF utworzono [9, 10] w celu doprowadzenia do bardziej ujednoliconego zrozumienia CF i pomiaru poprawy jakości. W 1966 roku zaczął w tym celu działać Rejestr Pacjentów CFF (CFFPR); w chwili obecnej zawiera on szczegółowe dane dotyczące ponad 26 000 chorych na CF [9]. CFFPR jest stosowany w ocenie przeżycia i czasowych zmian w zakresie przeżycia [69], predyktorów przeżycia [70], wpływu zawartości mikrobiologicznej plwociny [71] oraz powikłań związanych z CF [72]. Podobne postępy odnotowano w zakresie innych rejestrów (np. Rejestr CF UK), identyfikując gentamycynę jako szczególny czynnik ryzyka rozwoju niewydolności nerek u chorych na CF [73] i podkreślając związek pomiędzy kontrolą cukrzycy i przeżyciem [74]. Późniejsze publikacje z USA zajmowały się procesem opieki i dostępem do opieki, które to stanowią kluczowe tematy w poprawie jakości [29, 75]. Johnson i wsp. oceniali ośrodki CF w USA, tworząc ich ranking w oparciu o medianę $FEV_1$% w obrębie każdej z trzech grup wiekowych (6–12 lat, 13–17 lat i $\geq$ 18 lat). Wykazano, że ośrodki, w których wizyty pacjentów były częstsze, wraz z towarzyszącymi badaniami czynności płuc, badaniami mikrobiologicznymi plwociny, oraz stosowały więcej antybiotyków, były umieszczane wyżej w rankingu [75]. Badania te mogą prowadzić do zaprojektowania interwencji mogących poprawić opiekę i skoncentrowane na pacjencie wysokowartościowe wyniki.

### 5.3. *Wytyczne dla celów poprawy jakości w zakresie CF*

Jednym z kluczowych elementów poprawy jakości jest jasne zrozumienie tego, co obejmuje odpowiednia opieka wysokiej jakości. Jednym z celów poprawy jakości jest zapewnienie, że zalecane leczenie jest faktycznie proponowane i stosowane przez pacjentów, u których terapia wykazała skuteczność. Opublikowano dokumenty wytycznych mające pomóc społeczności CF w ocenie istniejących dowodów i ustaleniu standardów opieki (np. w zakresie opieki nad niemowlętami oraz leczenia infekcji płuc) [57, 76]. Dokumenty te prezentują systematyczne podejście do oceny piśmiennictwa i stanowią zestaw zaleceń, które mogą być zintegrowane w proces porównawczy. Reprezentują one standardy aktualnej opieki nad chorymi na CF, tworząc strategię ciągłego sukcesu w postępowaniu w zakresie tego schorzenia. Jednym z najważniejszych wyzwań jest możliwość istnienia różnic w tych zaleceniach. Mogą one wynikać z różnic w zakresie systemów opieki zdrowotnej, interpretacji danych oraz interpretacji korzyści i ryzyka związanego z interwencjami. Wytyczne są płynne i będą ulegać zmianom, w miarę jak zostanie uzyskanych więcej informacji w zakresie podejścia do opieki nad chorymi na CF.

### 5.4. *Krajowe dane porównawcze w zakresie CF dla celów poprawy jakości*

W wielu krajach grupy ochrony pacjentów ustaliły cele, aby uzyskać poprawę w zakresie przeżycia i wyników poszczególnych chorych na CF. Grupy te reprezentują najwcześniejszą fazę poprawy jakości w zakresie CF. Skutkiem tych wysiłków była znacząca poprawa jakości opieki nad chorymi na CF, z towarzyszącą poprawą w zakresie przeżycia [46]. Rozwój rejestrów pacjentów znajduje się u podstaw tego sukcesu. Mimo że poprawa przeżycia stanowi kluczowy cel w zakresie poprawy jakości i procesie porównawczym, należy śledzić również inne ważne pomiary. Na polu tym w ciągu ostatniej dekady miało miejsce kilka kluczowych postępów. Ośrodki CF w Niemczech postawiły poprawę jakości za swój główny cel w zakresie opieki nad chorymi na CF [16, 30]. Projekt ten zademonstrował również pierwszą czasową poprawę w wynikach, a następnie w zakresie opieki, ale – co szczególnie ważne – wykazał różnice w praktykach pomiędzy 93 ośrodkami na terenie Niemiec. Następnie w ramach projektu stworzono wskaźniki porównawcze oraz cykl PDSA [60]. Ponieważ wyniki tej pracy przekładają się na zmiany w zakresie opieki, widoczna będzie dalsza poprawa wyników w zakresie CF [31]. W innym przykładzie, w 2006 roku w ramach działania w stronę procesu porównawczego CFF US opracowała specyficzne dla ośrodków jawne publicznie wskaźniki wyników, promując to działanie jako inicjatywę „przyspieszającą tempo poprawy" przez proces porównawczy. Ośrodki z najlepszymi wynikami były wykorzystywane jako modele najlepszej praktyki z nadzieją na rozprzestrzenienie udanych procesów do innych ośrodków, co redukowało krajowe różnice we wzorcach praktyki i wynikach. CFF US zainicjowała również serię nakierowanych na działanie programów szkoleniowych (LLC) w celu zwiększenia możliwości poprawy jakości w ramach sieci opieki klinicznej nad chorymi na CF [77]. Każdy ośrodek uczestniczący w jednym z LLC brał udział w trakcie roku w projekcie poprawy jakości. Przykłady obejmowały projekt standaryzacji opieki w zaostrzeniach płucnych [78] oraz stosowanie danych porównawczych w celu poprawy odsetków z badań przesiewowych w cukrzycy związanej z CF [29].

### 5.5. *Rola poprawy jakości w badaniach przesiewowych noworodków*

Badania przesiewowe noworodków dostarczają unikatowej możliwości poprawy jakości w zakresie CF. Identyfikacja pacjentów w momencie urodzenia dostarcza różnych możliwości wczesnych interwencji w zakresie choroby. Interwencje te mogą prowadzić do zapobiegania strukturalnym chorobom płuc rozpoczynającym się przed wystąpieniem objawów klinicznych u dzieci z CF [79]. Badania przesiewowe noworodków pozwalają badaczom i ośrodkom CF na zrozumienie wczesnych zdarzeń prowadzących do klinicznej choroby [35] i na ocenę roli wczesnych interwencji [80]. Badania przesiewowe noworodków umożliwiły prowadzenie ostatnich prac mających na celu ustalenia definicji zaostrzenia u bardzo małych dzieci [21]. Zrozumienie najlepszych praktyk, sposób porównywania opieki oraz najlepszy sposób obserwacji dzieci chorych na CF zidentyfikowanych za pośrednictwem badań przesiewowych noworodków będą kluczowe dla dalszych postępów w zakresie opieki nad tymi pacjentami. Wytyczne postępowania w zakresie tej szczególnej grupy chorych na CF i standardy opieki są już dostępne i będą one miały kluczowe znaczenie [57]. Rejestry danych krajowych będą musiały ulec odpowiednim zmianom, tak aby interwencje kliniczne i wyniki mogły być

obserwowane. Najważniejsze wyzwanie wiąże się z ograniczonymi danymi na temat leczenia we wczesnym etapie choroby oraz z kwestią ustalenia leczenia w tej populacji pacjentów. Dodatkowo, patrząc z szerszej perspektywy, badania przesiewowe noworodków stanowią zarówno nowe wyzwania, jak i możliwości zapewnienia wczesnego dostępu do opieki dla chorych na CF i potencjalnego dostępu kwalifikujących się pacjentów do nowych, obiecujących terapii.

Wyzwania dotyczą również różnic w algorytmach badań przesiewowych noworodków. Wszystkie testy przesiewowe wiążą się z koniecznością uzyskania kompromisu między czułością i specyficznością. Odnotowywano znaczne różnice w zakresie wartości predykcyjnych dodatnich w zależności od zastosowanego podejścia [81, 82]. Jedną z kluczowych kwestii w zakresie wyboru różnych protokołów w badaniach przesiewowych noworodków jest identyfikacja nosicieli i zrozumienie naturalnego przebiegu klinicznego w przypadku rzadszych genotypów zidentyfikowanych w ramach badań przesiewowych noworodków. Integracja danych pochodzących z tych badań do rejestrów pacjentów pozwoli na rozjaśnienie niektórych kluczowych kwestii wiążących się z badaniami przesiewowymi.

**Pytania i odpowiedzi**

*W jaki sposób zapewnić zapisanie w rejestrach dokładnych danych wysokiej jakości?*

Można rozważyć przeprowadzanie losowych audytów w ośrodkach w połączeniu z audytami danych elektronicznych.

*Czy rejestry pacjentów powinny przechodzić rutynowo proces walidacji, biorąc pod uwagę ich rolę w pomiarze i ocenie jakości opieki?*

Proces walidacji może obejmować audyty danych, jak również procesy walidacji danych zaangażowanych w generowanie konkretnych wysokowartościowych pomiarów wyników (np. przewidywana $FEV_1$%).

*W jaki sposób rejestry mogą osiągnąć standaryzowane definicje elementów danych i standaryzowane raportowanie w celu zapewnienia poprawy porównań pomiędzy krajami?*

Można to osiągnąć przez tworzenie międzynarodowych grup roboczych w zakresie standaryzacji rejestrów.

*W jaki sposób rejestry mogą zmniejszyć czas od wprowadzenia danych do otrzymania informacji zwrotnej na temat wyników dla ośrodków i pacjentów?*

Jednym z rozwiązań jest wprowadzanie danych w czasie rzeczywistym.

*Jakie są kluczowe elementy danych związanych z badaniami przesiewowymi noworodków, które należy zbierać w rejestrach w celu ustalenia odpowiednich pomiarów jakości na przyszłość?*

Potencjalne zmienne obejmują wiek w czasie badania przesiewowego, podejście zastosowane w ramach badań przesiewowych oraz wynik badania przesiewowego.

*W jaki sposób kraje zajmują się różnymi protokołami badań przesiewowych noworodków prowadzonych na ich terenie?*

Na przykład przez jasne określenie wszystkich podejść stosowanych w ramach badań przesiewowych noworodków oraz elementów danych, które w jasny sposób wskazują na podejście zastosowane w przypadku danego pacjenta.

*W jaki sposób należy wykorzystać rejestry pacjentów w celu formalnej oceny protokołów badań przesiewowych noworodków?*

Jedną ze strategii byłoby porównanie wprowadzenia badań przesiewowych noworodków z przerwanymi analizami szeregów czasowych w krajach, prowincjach lub stanach z różniącymi się czasami wprowadzania tych protokołów.

## 6. Zarządzanie jakością na poziomie międzynarodowym

„Zaryzykowałbym stwierdzenie, że nie potrzebujemy międzynarodowych porównań. Potrzebujemy raczej międzynarodowego szkolenia.” K. Walshe (2003) [83].

### 6.1. *Porównania międzynarodowe: aktualny stan wiedzy*

Porównania praktyk zarządzania jakością pomiędzy krajami wiążą się z takimi samymi problemami, jak porównania w obrębie jednego kraju, plus złożoność różnic w zakresie systemów opieki zdrowotnej i praktyk zbierania danych. Dreachslin i wsp. [84] zidentyfikowali główne przeszkody na drodze porównywania jakości danych międzynarodowych: brak jednolitej bazy danych klinicznych, wspólnych definicji i praktyk zbierania danych.

#### 6.1.1. *Wybór wskaźników i ich definicja*

Wybór wskaźników jest kluczowy w przypadku porównań zarządzania jakością w zakresie stanu zdrowia pacjentów i systemów opieki zdrowotnej. Sugerowane są różne wskaźniki i dlatego też ważne jest, aby wziąć pod uwagę ważność i konieczność pomiarów, tak jak podał Kerr [85, 86]. Proponowanymi wskaźnikami są: ustalenie rozpoznania, usługi zdrowotne oraz wyniki dotyczące zachorowalności i umieralności [84]. Jednakże ocena i poprawa jakości wymagają również specjalistycznej oceny i dlatego też wskaźniki jakości nie stanowią panaceum; nauka przez dzielenie się doświadczeniami i tworzenie sieci jest również ważna [87]. Istnieje również ryzyko tego, że skupienie się na wskaźnikach w pewnych obszarach spowoduje wyłączenie z rozważań innych, równie ważnych obszarów, a wyniki długoterminowe nie zostaną w nie włączone [88].

Przenoszenie wskaźników jakości w systemach ochrony zdrowia pomiędzy krajami jest wykonalne, ale zazwyczaj stanowi przedmiot adaptacji zgodnie ze specyficznym kontekstem innych krajów [86]. Należy zwłaszcza zwrócić uwagę na poziom szczegółów w definicji międzynarodowych wskaźników zarządzania jakością. W ramach próby ujednolicenia pomiędzy krajami istnieje ryzyko, że wskaźniki stracą swą informacyjność, czego skutkiem będzie zbieranie zbyt odtwórczych informacji [84]. Podobnie, niektóre wskaźniki mogą odzwierciedlać jedynie lokalne potrzeby i być tym samym nieodpowiednie dla porównań międzynarodowych [87].

Kryteria włączenia i wykluczenia powinny być jednolite: potencjalny błąd w zakresie selekcji pacjentów i rejestrowaniu informacji może wpływać na wyniki porównań. Dlatego zaleca się badanie tego, czy kryteria włączenia/wykluczenia lub różne procesy rejestracji mogą być przyczyną odpowiedzialną za odnalezione różnice. W celu uniknięcia błędów statystycznych mogących być skutkiem mieszania

przypadków w pomiarach wyników, można zastosować zamiast tego rejestrowanie wyników „prawie trafionych" (*near-misses*) [88].

W końcu, procedury zbierania danych i jakość danych powinny stanowić część procesu zarządzania jakością. Jakość danych stanowi kluczowy aspekt badań i należy pamiętać stare powiedzenie „błędne dane to błędne wyniki" (*garbage in, garbage out*). Redukcja brakujących danych na poziomie krajowym ułatwiła porównanie i poprawiła kontrolę w jednym z badań [31]. Z tego powodu zaleca się przeprowadzanie audytów danych [88].

#### 6.1.2. *Cykle PDSA*

Dobrze wiadomo, że zgłaszanie różnic byłoby bezużyteczne, jeśli nie szłyby za nim zmiany w zachowaniu/praktykach [88]. Ważne jest zdefiniowanie strategii identyfikowania różnic pomiędzy krajami, badanie przyczyn ich istnienia oraz budowania tego, co Stern i wsp. [31] nazwali procesem nauki i procedurą poprawy jakości.

Jest jednak oczywiste, że taki proces jest raczej skomplikowany w warunkach międzynarodowych, gdzie różne czynniki mogą prowadzić do różnych wyników, a więc zakłócające skutki mogą prowadzić do różnych wyników lub różnych wskaźników jakości. Analiza danych pełni podstawową rolę: porównania mogą być przeprowadzane w sposób jedynie opisowy z użyciem tabel podsumowujących oraz wykresów porównawczych. Jednak należy doprowadzić do lepszego zrozumienia różnic pomiędzy krajami po dostosowaniu do potencjalnych czynników zakłócających. Co więcej, po identyfikacji czynników odpowiedzialnych za różne poziomy zarządzania jakością konieczna jest dyskusja w zakresie odpowiedniości praktyk transferowych pomiędzy krajami, jako że to, co działa w jednym kraju, może nie działać w innym albo może być niemożliwe do przeniesienia [88].

W końcu, niektórzy autorzy popierają potrzebę istnienia ciała kierowniczego nadzorującego proces poprawy jakości danych i ustalającego odpowiednie kryteria pomiarowe, procedury zbierania danych, metody ich analizy i schematy nagradzania [88, 89].

### 6.2. *Porównania międzynarodowe: wspólne stanowisko*

W celu stworzenia międzynarodowego procesu poprawy jakości należy osiągnąć zgodność na poziomie międzynarodowym w następujących aspektach: wybór wskaźników monitorowania jakości, wybór najbardziej odpowiednich repozytoriów do przechowywania takich wskaźników, podejście do analizy danych (takie jak uznanie błędu statystycznego selekcji i czynników zakłócających), implementacja cykli PDSA oraz kierowanie procesem zarządzania jakością. Kolejne rozdziały nakreślają wspólne stanowisko osiągnięte w przypadku każdego z tych aspektów oraz przedstawiają sugestie dotyczące obszarów, w zakresie których potrzebna jest praca.

#### 6.2.1. *Wybór wskaźników*

Porównania w następujących obszarach zarządzania jakością: usługi zdrowotne, wyniki i jakość danych, powinny być przeprowadzane międzynarodowo.

6.2.1.1. *Usługi zdrowotne*. Proponowane były różne wskaźniki oceny usług zdrowotnych i stosowano je w piśmiennictwie medycznym, jednak w zakresie CF ich zastosowanie nie jest dobrze udokumentowane, zwłaszcza w warunkach międzynarodowych.

W zakresie poprzedniego wspólnego stanowiska dotyczącego standardów opieki nad chorymi na CF, Kerem i wsp. [50] zidentyfikowali kluczowe usługi, obiekty i personel do zaadaptowania przez specjalistyczne ośrodki CF, zalecili procedury w zakresie opieki nad chorymi na CF w warunkach poradni, szpitala, opieki współdzielonej i opieki przejściowej, a także coroczne przeprowadzanie testów kontrolnych. Opisane standardy opieki wytyczyły drogę dla zdefiniowania wskaźników stosowanych w porównaniach międzynarodowych, szczególnie w obszarze usług zdrowotnych. W tabeli IV wymieniono propozycje wskaźników pochodzących z zaleceń uaktualnianych w obecnym dokumencie standardów opieki (patrz Rozdział 3, *Zarządzanie jakością na poziomie ośrodka*) [90].

ECSF zachęca do tworzenia międzynarodowych grup roboczych, składających się z ekspertów w zakresie oceny systemów opieki zdrowotnej, specjalistów w zakresie CF oraz osób zarządzających danymi w bazach danych CF, których celem jest ocena tego, czy te propozycje wskaźników mają wymagane dla porównań międzynarodowych cechy. Ocena proponowanych wskaźników powinna skoncentrować się w szczególności na następujących aspektach:

- Czy wskaźniki te mają pożądane cechy: ważność, konieczność, możliwość przeniesienia?
- Czy wskaźniki te cechują się odpowiednim poziomem szczegółowości? Czy są one bogate w informacje, czy zbyt niejasne? Czy odzwierciedlają jedynie lokalne potrzeby?
- Czy przy wyborze tych wskaźników istnieje ryzyko „klapek na oczach"?
- Czy długoterminowe wskaźniki są dostępne i użyteczne?

6.2.1.2. *Wyniki zdrowotne*. W piśmiennictwie dotyczącym CF przeprowadza się porównania wyników zdrowotnych na poziomie krajowym [30, 31, 52, 91] i międzynarodowym [8, 22, 58, 92–99]. Porównania te przeprowadza się głównie w odniesieniu do przeżycia, czynności płuc oraz odżywienia. Wskaźniki używane w tych porównaniach obejmują: medianę wieku w chwili zgonu, medianę przewidywanego przeżycia, $FEV_1$, natężoną pojemność życiową, występowanie infekcji płuc, masę ciała, wzrost oraz BMI.

Wszystkie te wskaźniki mają pożądane cechy: w środowisku naukowym CF istnieje zgodne wspólne stanowisko w zakresie odzwierciedlania przez nie stanu zdrowia pacjenta; są one rutynowo odnotowywane w zapiskach klinicznych, ponieważ są wykorzystywane w klinicznym postępowaniu z pacjentem; cechują się odpowiednim poziomem szczegółowości do wyrażenia stanu zdrowia pacjenta; nie odzwierciedlają jedynie lokalnych potrzeb; skupiają się na różnych aspektach CF; niektóre z nich uwzględniają długoterminowe wyniki. Głównymi problemami wiążącymi się ze stosowaniem tych wskaźników jest możliwość ich przenoszenia; w porównaniach międzynarodowych odnotowywano trudności w tym zakresie wiążące się z różnymi terminami pomiarów (np. rejestrowanie najlepszej *vs* ostatniej wartości $FEV_1$ w ciągu roku), różnicami w definicjach (np. w zakresie

**Tabela IV – Proponowane wskaźniki dla usług opieki zdrowotnej**
***Table IV – Proposed indicators for healthcare services***

| Obszar | Proponowany wskaźnik |
|---|---|
| Definicja ośrodka CF | Finansowanie ośrodka CF przez dostarczyciela usług medycznych<br>Liczba obserwowanych pacjentów<br>Ustalenie powiązań z konsultantami specjalizującymi się w obszarze zalecanym przez wspólne stanowisko w zakresie standardów opieki<br>Obecność skierowań oraz protokołu oceny do ośrodka transplantacyjnego<br>Dostępność zakładu radiologii z obecnością skanera CT<br>Dostępność laboratorium przeprowadzającego badania czynności płuc<br>Dostępność usług mikrobiologicznych z ustalonym kontaktem z referencyjnym laboratorium mikrobiologicznym w zakresie CF<br>Dostępność możliwości diagnostycznych, w tym testów potowych oraz analizy mutacji genu *CFTR*<br>Dostępność wytycznych leczenia powikłań CF<br>24-godzinny dostęp do ośrodka CF w celu uzyskania porady telefonicznej, konsultacji lub pomocy w nagłym przypadku |
| Członkowie zespołu | Obecność kierownika ośrodka CF<br>Obecność konsultanta w zakresie CF<br>Obecność specjalisty w dziedzinie pielęgniarstwa klinicznego zajmującego się chorymi na CF<br>Obecność fizjoterapeuty zajmującego się chorymi na CF<br>Obecność dietetyka zajmującego się chorymi na CF<br>Obecność pracownika socjalnego zajmującego się chorymi na CF<br>Obecność psychologa zajmującego się chorymi na CF<br>Obecność farmaceuty klinicznego zajmującego się chorymi na CF<br>Obecność mikrobiologa klinicznego zajmującego się chorymi na CF<br>Obecność konsultanta, lekarza w trakcie specjalizacji, pielęgniarki, fizjoterapeuty, dietetyka, pracownika socjalnego, psychologa, sekretarki, farmaceuty zatrudnionych na pełny etat [90] |
| Opieka w poradni | Częstość odbywania wizyt<br>Miejsce odbywania wizyt<br>Obecność lekarza i pielęgniarki zajmujących się chorymi na CF na każdej wizycie<br>Dostępność wszystkich członków zespołu na każdej wizycie<br>Wykonywanie zalecanych rutynowych badań zgodnie z wiekiem pacjenta<br>Aktualizacja leczenia oraz leków<br>Wdrażanie strategii segregacji zgodnie ze statusem mikrobiologicznym pacjenta<br>Przyjęcie lub dożylne podawanie leków w domu w ciągu 24–48 godzin |
| Opieka szpitalna | Liczba łóżek pozwalająca na natychmiastowe przyjęcie do szpitala<br>Obecność strategii kontroli infekcji<br>Dostępność pojedynczych pokojów z łazienką i toaletą<br>Dostępność urządzeń do mycia rąk<br>Dostępność towarzyszącego przeglądu przez współpracujących specjalistów ochrony zdrowia<br>Ocena hiperglikemii i saturacji tlenem w nocy przy każdym przyjęciu z powodu zaostrzenia na podłożu infekcji<br>Regularne badania mikrobiologiczne plwociny<br>Regularne pomiary spirometryczne<br>Fizjoterapia (w tym techniki mobilizacji plwociny) dwa razy dziennie<br>Dostępność obiektów do nadzorowanej aktywności fizycznej<br>Dostępność protokołów dawkowania i podawania antybiotyków, leczenia odmy opłucnowej, postępowania w przypadku krwioplucia, diagnostyki ABPA i związanej z CF cukrzycy<br>Cotygodniowe dyskusje na wielodyscyplinarnych spotkaniach pacjentów szpitalnych oraz otrzymujących antybiotykoterapię drogą dożylną |
| Opieka współdzielona | Liczba pacjentów obserwowana w satelitarnych jednostkach CF<br>Wkład w satelitarną jednostkę CF ze strony: dietetyka, fizjoterapeuty oraz pielęgniarki zajmujących się chorymi na CF<br>Obecność poradni poświęconych CF w satelitarnej jednostce CF<br>Okresowy kontakt (raz/dwa razy w roku) pomiędzy jednostką opieki nad chorymi na CF a satelitarną jednostką CF z coroczną oceną przeprowadzaną przez ośrodek CF |
| Opieka przejściowa | Dostępność systemu umożliwiającego przechodzenie z opieki pediatrycznej pod opiekę nad pacjentami dorosłymi<br>Obecność ciągłości protokołów diagnostycznych i leczniczych<br>Porozumienie w zakresie strategii kontroli infekcji pomiędzy ośrodkami przejściowymi<br>Przegląd dzieci i rodziców przed przekazaniem opieki<br>Wprowadzenie do nowego ośrodka przed przejściem do niego<br>Prezentacja różnic pomiędzy ośrodkami przejściowymi wykonana przed przejściem<br>Pisemny raport dotyczący pacjenta w zakresie wszystkich dziedzin związanych z opieką pediatryczną<br>Powitanie pacjenta pierwszego dnia przejścia do nowego ośrodka |

**Tabela IV** (*Ciąg dalszy*)

| Obszar | Proponowany wskaźnik |
|---|---|
| Coroczna ocena | Wywiad w zakresie wszystkich zdarzeń medycznych i życiowych od poprzedniej oceny<br>Pełne badanie kliniczne<br>Przegląd przeprowadzony przez specjalistę fizjoterapii zajmującego się chorymi na CF<br>Badanie spirometryczne u pacjentów powyżej 5. roku życia<br>Przegląd w zakresie odżywienia przeprowadzony przez specjalistę dietetyki zajmującego się chorymi na CF<br>W razie potrzeby czas spędzany z pracownikiem socjalnym i/lub psychologiem<br>Badania krwi, badanie próbek kału na elastazę trzustkową, obecność tłuszczu w kale, badanie RTG klatki piersiowej, badanie USG wątroby, badanie plwocin lub wymazu, jak wyszczególniono w dokumencie „Standardy opieki”<br>Doustny test tolerancji glukozy, jak wyszczególniono w dokumencie „Standardy opieki”<br>Ocena gęstości mineralnej kości<br>Powtórny test potowy w przypadku nowych pacjentów w ośrodku<br>Identyfikacja genotypu, chyba że już go wykonano, w przypadku nowych pacjentów w ośrodku<br>Potwierdzenie niewydolności trzustki w przypadku nowych pacjentów w ośrodku<br>Wprowadzenie do ośrodka w przypadku nowych pacjentów w ośrodku |
| Badania czynności płuc | Badanie spirometryczne na każdej wizycie (FVC, FEV1, $FEF_{max}$, $FEF_{25-75}$)<br>Badania czynności płuc inne niż spirometryczne – w przypadku wskazań klinicznych<br>Wykonywanie badań w dużym, wentylowanym pokoju, z zastosowaniem metod mających na celu redukcję występowania zakażeń krzyżowych<br>Segregacja pacjentów pod względem ich statusu mikrobiologicznego |
| Nowe rozpoznania | Możliwość odwiedzenia pacjenta w ciągu 24 godzin od rozpoznania<br>Implementacja wstępnych specyfikacji oceny<br>Wdrożenie programu edukacyjnego<br>Wdrożenie programu leczniczego<br>Stawianie diagnozy u osób dorosłych<br>Dostępność badań wyszczególnionych w dokumencie „Standardy opieki” |

ABPA – alergiczna aspergiloza oskrzelowo-płucna; CF – mukowiscydoza; CT – tomografia komputerowa; FEF – natężony przepływ wydechowy; $FEV_1$ – natężona pierwszosekundowa objętość wydechowa; FVC – natężona pojemność życiowa

przewlekłości infekcji) [100], różnymi wskaźnikami wykrywania (np. badanie genotypu), częstością pobierania próbek (np. przy badaniach mikrobiologicznych) [100, 101], potencjalnym błędem statystycznym selekcji pacjentów [58, 100, 101] lub ilością brakujących danych [100].

ECSF zaleca, aby międzynarodowa społeczność CF doszła do porozumienia w zakresie kluczowych aspektów wyników zdrowotnych w zakresie CF, a także aby rutynowo raportowano wskaźniki dotyczące tych aspektów na poziomie krajowym, głównie poprzez krajowe rejestry CF. W 2009 roku wysunięto propozycję współdzielenia takich informacji [102], a także przedstawiono propozycję wyboru wskaźników na poziomie ośrodków. Propozycja ta uległa dalszemu przekształceniu oraz zaproponowano również inne wskaźniki [103].

Innym przykładem międzynarodowego porównania wyników zdrowotnych i procesów zdrowotnych (np. praktyk diagnostycznych) jest coroczny raport danych Rejestru Pacjentów Europejskiego Towarzystwa Mukowiscydozy [14, 100]. W tabeli V podsumowano wskaźniki wyników zdrowotnych i procesów zdrowotnych, które powinny zostać wzięte pod uwagę i poprawione dla celów porównań międzynarodowych [100, 102].

6.2.1.3. *Jakość danych*. Jakość danych powinna stanowić element międzynarodowego procesu monitorowania jakości. Poprawę poziomu dokładności rejestrowanych informacji należy osiągnąć przez motywację i odpowiednie szkolenie osób zajmujących się uzyskiwaniem i rejestracją danych, przez implementację automatycznych systemów wykrywania błędów oraz skutecznych procedur korekcji błędów. Należy wspierać inicjatywy mające na celu udostępnianie specjalistycznej wiedzy na poziomie międzynarodowym w zakresie procesów kontroli jakości danych, takie jak rozpoczęta przez Rejestr Pacjentów Europejskiego Towarzystwa Mukowiscydozy [13].

### 6.2.2. *Analiza danych i udostępnianie metadanych*

Wyniki porównań międzynarodowych są szczególnie podatne na różnice wynikające z czynników zakłócających i różnice w zakresie selekcji pacjentów. Te czynniki zakłócające powinny być uwzględniane w fazie analizy danych. Można stosować metody statystyczne dla kontroli zakłóceń i dostosowania w zakresie mieszania przypadków, jednak ich wdrożenie może być trudne w tak złożonym kontekście; należy stosować w razie konieczności przynajmniej prostsze metody, takie jak stratyfikacja oraz analiza podgrup. Kluczowe jest, aby potencjalne źródła błędu selekcji pacjentów były dokładnie analizowane, tak aby pomiędzy krajami przeprowadzane były uczciwe porównania w jak najbardziej jednorodnych grupach pacjentów.

Innym fundamentalnym aspektem analizy danych jest ujawnienie wszystkich ważnych informacji technicznych mogących mieć wpływ na wyniki. Przykładami takich informacji technicznych, które powinny zostać wyszczególnione, są: wartości referencyjne stosowane do obliczania wartości odchylenia standardowego przy pomiarach antropometrycznych, równania używane do obliczania odsetków przewidywanych wartości w przypadku badań czynności płuc oraz specyfikacja kryteriów włączenia/wykluczenia.

**Tabela V – Proponowane wskaźniki dla procesów i wyników zdrowotnych**
***Table V – Proposed indicators for health outcomes and processes***

| Obszar | Wskaźnik | Stratyfikacja | Ograniczenia |
|---|---|---|---|
| Wynik | Mediana wieku | Pod względem płci | |
| | Odsetek pacjentów w wieku 18 lat i więcej | | |
| | Mediana przewidywanej $FEV_1$% | Pod względem płci i wieku | Pacjenci w wieku 6 lat i więcej |
| | Mediana percentyla BMI | Pod względem płci i wieku | |
| | Liczba zgonów w bieżącym roku | Pod względem płci | |
| | Mediana wieku w chwili zgonu (zgony w bieżącym roku) | Pod względem płci | |
| | Średni BMI | Pod względem płci i wieku | Pacjenci w wieku 18 lat i więcej |
| | Średni percentyl BMI | Pod względem płci i wieku | Pacjenci w wieku 2–17 lat |
| | Średnia przewidywana $FEV_1$% | Pod względem płci i wieku | Pacjenci w wieku 6 lat i więcej |
| | Pierwszy kwartyl, mediana i trzeci kwartyl dla wieku | | |
| | Odsetek pacjentów w wieku ponad 18 lat | | |
| | Odsetek pacjentów, którzy zmarli w bieżącym roku | | |
| | Średnia i mediana wieku w chwili zgonu | | |
| | Odsetek pacjentów żyjących z przeszczepem płuc | | |
| | Odsetek pacjentów żyjących z przeszczepem wątroby | | |
| | Średni, minimalny i maksymalny kwartyl przewidywanej $FEV_1$% | Pod względem wieku | Pacjenci bez czynności płuc |
| | Grupy przewidywanej $FEV_1$% (<40/40–80/>80%) | Pod względem wieku | Pacjenci bez czynności płuc |
| | Występowanie przewlekłych infekcji wywołanych przez *Pseudomonas aeruginosa* | | |
| | Występowanie przewlekłych infekcji wywołanych przez *Burkholderia* ssp. | | |
| | Występowanie przewlekłych infekcji wywołanych przez *Staphylococcus aureus* | | |
| | Występowanie przewlekłych infekcji wywołanych przez niegruźlicze szczepy mycobacterium | | |
| | Występowanie przewlekłych infekcji wywołanych przez *Stenotrophomonal maltophilia* | | |
| | Pierwszy kwartyl, mediana i trzeci kwartyl dla z-scores dla wzrostu | Pod względem wieku | |
| | Pierwszy kwartyl, mediana i trzeci kwartyl dla z-scores dla masy ciała | Pod względem wieku | |
| | Pierwszy kwartyl, mediana i trzeci kwartyl dla z-scores dla BMI | Pod względem wieku | |
| | Odsetek pacjentów z BMI < 18,5 | Pod względem wieku i płci | Pacjenci w wieku 18 lat i więcej |
| | Występowanie alergicznej aspergilozy oskrzelowo-płucnej | | |
| | Występowanie odmy opłucnowej | | |
| | Występowanie krwioplucia | | |
| | Występowanie nowotworów złośliwych | | |
| | Występowanie choroby wątroby | | |
| | Liczba pacjentów żyjących z przeszczepem płuca/płuc | Pod względem wieku i płci | |
| | Liczba pacjentów żyjących z przeszczepem wątroby | Pod względem wieku i płci | |
| | Liczba zgonów w bieżącym roku | Pod względem wieku i płci | |
| | Wiek w grupach zgonu dla zgonów w bieżącym roku | Pod względem wieku | |
| Proces | Liczba nowych diagnoz w bieżącym roku | | |
| | Odsetek nowo zdiagnozowanych przypadków przez badania przesiewowe noworodków w bieżącym roku | | |
| | Mediana wieku w chwili diagnozy | | |
| | Mediana wieku w chwili diagnozy – dla nowo postawionych diagnoz | | |
| | Genotyp F508del (homozygota/heterozygota/inny/nie przeprowadzono badania genotypu) | | |
| | Pierwszy kwartyl, mediana i trzeci kwartyl dla wieku w chwili diagnozy | | |
| | Wiek w grupach diagnozy | | |
| | Odsetek pacjentów, którzy zostali poddani badaniom przesiewowym noworodków | | |
| | Odsetek pacjentów z analizą DNA | | Pacjenci w wieku 5 lat i więcej |

BMI – wskaźnik masy ciała; $FEV_1$ – natężona pierwszosekundowa objętość wydechowa

#### 6.2.3. *Zbieranie danych i wybór repozytorium*

W poprzednich rozdziałach opisano elementy potrzebne w porównaniach międzynarodowych: wybór wskaźników dla usług, wyników i procesów zdrowotnych, implementację metod analizy danych uwzględniających skutki zakłócające i błąd selekcji, udostępnianie wiedzy dotyczącej jakości danych oraz udostępnianie technicznych informacji dotyczących analizy danych. Wszystkie te elementy mogą być wygodnie zebrane w unikatowym repozytorium, takim jak zaproponowane przez Simsa [104].

Należy osiągnąć międzynarodowe porozumienie w zakresie wyboru takiego repozytorium, a także wyboru rodzaju przechowywanych informacji oraz poziomu ich szczegółowości. Przykłady przechowywanych informacji obejmują: połączone wyniki wskaźników wybranych dla porównań międzynarodowych, dokumentację metodologii stosowanej przy zbieraniu i analizie danych, materiał użyteczny w wymianie doświadczeń pomiędzy różnymi inicjatywami mającymi na celu poprawę jakości.

#### 6.2.4. *Implementacja cykli PDSA i kierowanie procesami zarządzania jakością*

Aby proces monitorowania jakości był skuteczny, należy odpowiednio wdrożyć cykl PDSA oraz utworzyć skuteczny system kierowania.

Zaleca się osiągnięcie porozumienia międzynarodowego w zakresie organizacji i kontynuowania procesu kierowania. Należy powołać zdefiniowaną grupę ludzi zajmujących się tą kwestią, mogących dokonywać zmian oraz mierzyć wpływ powyższych zmian. Jeśli wskaźniki wybrane dla porównań międzynarodowych nie są obecne w istniejących bazach danych (np. rejestrach pacjentów, administracyjnych bazach danych, rutynowych raportach statystyk zdrowotnych), rejestry narodowe powinny być nakłaniane do zebrania takich informacji i stworzenia konkretnego repozytorium do przechowywania połączonych informacji.

Do zadań tej grupy należą: zachęcanie do udziału w programach monitorowania jakości, promowanie tworzenia sieci i dzielenia się doświadczeniami dla procesu zdobywania wiedzy, a także przeprowadzanie audytów w zakresie wskaźników i procedur zbierania danych.

#### 6.2.5. *Zaangażowanie pacjenta w porównania międzynarodowe*

Zaangażowanie pacjenta w proces monitorowania jakości na każdym poziomie ma podstawowe znaczenie: poprawa jakości służy korzyściom pacjentów, a wzmocnienie ich pozycji i zwiększenie wkładu w ten proces są kluczowe.

Aktywne zaangażowanie pacjentów jest z sukcesem osiągane w wielu krajach poprzez udostępnianie informacji, w których unika się stosowania żargonu technicznego. Dystrybucja ulotek, przyjazne pacjentom wersje corocznych raportów danych oraz poświęcone pacjentom strony internetowe rejestrów CF są przykładami tego, w jaki sposób specjaliści w zakresie CF i rejestrów dają pacjentom dostęp do informacji w przejrzysty i kompleksowy sposób. Tym sposobem pacjenci mają możliwość stanowić aktywny element systemu opieki zdrowotnej, a poprzez swoich przedstawicieli w ciałach kierowniczych mogą wpływać na implementację zmian niezbędnych w poprawie jakości.

## Konflikt interesu/Conflict of interest

C.H. Goss: członkostwo w radzie, Transave Inc., bez osobistego honorarium, a także KaloBios Pharmaceuticals, honorarium przekazane instytucji autora; granty od Transave Inc. I Vertex Pharmaceuticals; wykładowca dla F. Hofmann-La Roche Ltd, Uniwersytetu Johna Hopkinsa oraz Europejskiego Towarzystwa Mukowiscydozy; grant od Gilead Sciences za uczestnictwo w panelu przeglądowym; grant przekazany instytucji autora przez Fundację Mukowiscydozy, FDA i NIH; wszystkie poza przedstawioną pracą. L. Viviani: osobiste honoraria od Effetti s.r.l., poza przedstawioną pracą. J.S. Elborn: Prezydent ECFS. Płatności instytucjonalne w ramach funkcji konsultanta oraz badań klinicznych od Vertex, Gilead, Novartis, poza przedstawioną pracą. C. Castellani: konsultant dla Vertex i Gilead, wykłady dla Chiesi i Novartis, poza przedstawioną pracą. M. Stern, D. Pougheon Bertrand, E. Bignamini, M. Corey, B. Dembski, T. Pressler i G. Rault – brak konfliktu interesów.

## Podziękowania/Acknowledgement

Autorzy chcą wyrazić podziękowania za wiele owocnych dyskusji zespołowi zarządzania jakością oraz za pomoc dla Elaine Guinn, Milan Macek, Jo Osmond i Harm Tiddens.

## PIŚMIENNICTWO/REFERENCES

[1] DiSant'Agnese PA. Cystic fibrosis of the pancreas. Am J Med 1956;21:406–422.
[2] Shwachman H, Kulczycki LL. Long-term study of one hundred five patients with cystic fibrosis; studies made over a five- to fourteen-year period. AMA J Dis Child 1958;96:6–15.
[3] Doershuk CF, Matthews LW, Tucker AS, Nudleman H, Eddy G, Wise M, et al. A 5 year clinical evaluation of a therapeutic program for patients with cystic fibrosis. J Pediatr 1964;65:677–693.
[4] Warwick WJ, Pogue RE. The prognosis for children with cystic fibrosis based on reasoned approaches to therapy: past, present, and future. J Asthma Res 1968;5:277–284.
[5] Shwachman H, Kowalski M, Khaw KT. Cystic fibrosis: a new outlook. 70 patients above 25 years of age. Medicine 1977;56:129–149.
[6] Crozier DN. Cystic fibrosis: a not-so-fatal disease. Pediatr Clin North Am 1974;21:935–950.
[7] Gurwitz D, Corey M, Francis PW, Crozier D, Levison H. Perspectives in cystic fibrosis. Pediatr Clin North Am 1979;26:603–615.
[8] Corey M, McLaughlin FJ, Williams M, Levison H. A comparison of survival, growth, and pulmonary function in patients with cystic fibrosis in Boston and Toronto. J Clin Epidemiol 1988;41:583–591.
[9] Cystic Fibrosis Foundation. Cystic Fibrosis Foundation Patient Registry 2011 annual data report; 2012.[Bethesda, Maryland].
[10] Cystic Fibrosis Canada. Canadian Cystic Fibrosis Patient Data Registry report. 2010; 2011.[Toronto].
[11] Cystic Fibrosis Foundation. http://www.cff.org/LivingWithCF/Care CenterNetwork/QualityImprovement/; 2013.

[12] Salvatore D, Buzzetti R, Baldo E, Furnari ML, Lucidi V, Manunza D, et al. An overview of international literature from cystic fibrosis registries. Part 4: update 2011. J Cyst Fibros 2012;11:480–493.
[13] European cystic fibrosis society patient registry newsletter. http://www. ecfs.eu/projects/ecfspr/newsletters; January 2013.[Issue 3].
[14] The ECFS Patient Registry annual data report. 2008-2009 data. Version 03. Available from: https://www.ecfs.eu/files/webfm/webfiles/File/ecfs_registry/ECFSPR_Report0809_v32012.pdf; 2012.
[15] Kerem E, Viviani L, Zolin A, Macneill S, Hatziagorou E, Ellemunter H, et al. Factors associated with FEV1 decline in cystic fibrosis: analysis of the data of the ECFS Patient Registry. Eur Respir J 2013. http://dx.doi.org/10.1183/09031936.00166412 [Epub ahead of print].
[16] Wiedemann B, Steinkamp G, Sens B, Stern M. The German Cystic Fibrosis Quality Assurance Project: clinical features.
[17] Gutierrez HH, Sanchez I, Schidlow DV. Cystic fibrosis care in Chile. Curr Opin Pulm Med 2009;15:632–637.
[18] Morgan WJ, Butler SM, Johnson CA, Colin AA, FitzSimmons SC, Geller DE, et al. Epidemiologic study of cystic fibrosis: design and implementation of a prospective, multicentre, observational study of patients with cystic fibrosis in the U.S. and Canada. Pediatr Pumonol 1999;28:231–241.
[19] Schechter MS. Benchmarking to improve the quality of cystic fibrosis care. Curr Opin Pulm Med 2012;18:596–601.
[20] Rosenfeld M, Emerson J, McNamara S, Joubran K, Retsch-Bogart G, Graff GR, et al. Baseline characteristics and factors associated with nutritional and pulmonary status at enrollment in the cystic fibrosis EPIC observational cohort. Pediatr Pulmonol 2010;45:934–944.
[21] Byrnes CA, Vidmar S, Cheney JL, Carlin JB, Armstrong DS, Cooper PJ, et al. Prospective evaluation of respiratory exacerbations in children with cystic fibrosis from newborn screening to 5 years of age. Thorax 2013;68:643–651.
[22] Martin B, Schechter MS, Jaffe A, Cooper P, Bell SC, Ranganathan S. Comparison of the US and Australian cystic fibrosis registries: the impact of newborn screening. Pediatrics 2012;129:48–55.
[23] Closing the quality gap: revisiting the state of the science series: quality improvement interventions to address health disparities. Review protocol. Rockville, MD: Agency for Healthcare Research and Quality; 2011. [http://www.ahrq.gov/clinic/tp/gapdisptp.htm].
[24] Berwick DM. The science of improvement. JAMA 2008;299:1182–1184.
[25] Shojania KG, Grimshaw JM. Evidence-based quality improvement: the state of the science. Health Aff (Millwood) 2005;24:138–150.
[26] Berwick DM. Continuous improvement as an ideal in health care. N Engl J Med 1989;320:53–56.
[27] Nelson EC, Godfrey MM, Batalden PB, Berry SA, Bothe AE, McKinley KE, et al. Clinical microsystems. Part1: The building blocks of health systems. Jt Comm J Qual Patient Saf 2008;34:367–378.
[28] Schechter MS, Margolis P. Improving subspecialty healthcare: lessons from cystic fibrosis. J Pediatr 2005;147:295–301.
[29] Quinton HB, O'Connor GT. for the Northern New England CV Cystic Fibrosis Consortium. Current issues in quality improvement in cystic fibrosis. Clin Chest Med 2007;28:459–472.
[30] Stern M, Wiedemann B, Wenzlaff P. on behalf of the German Cystic Fibrosis Quality Assessment group. From registry to quality management: the German Cystic Fibrosis Quality Assessment project 1995-2006. Eur Respir J 2008;31:29–35.
[31] Stern M. The use of a cystic fibrosis patient registry to assess outcomes and improve cystic fibrosis care in Germany. Curr Opin Pulm Med 2011;17:477–573.
[32] Ellemunter H, Eder J, Steinkamp G. Structured care in an ISO certified Centre for patients with cystic fibrosis and their families. Pneumologie 2011;65:615–623.
[33] Liou TG, Elkin EP, Pasta DJ, Jacobs JR, Konstan MW, Morgan WJ, et al. Year-to-year changes in lung function in individuals with cystic fibrosis. J Cyst Fibros 2010;9:250–256.
[34] Taylor-Robinson D, Whitehead M, Diderichsen F, Vebert Olesen H, Pressler T, Smyth RL, et al. Understanding the natural progression in %FEV1 decline in patients with cystic fibrosis: a longitudinal study. Thorax 2012;67:860–866.
[35] Pillarisetti N, Williamson E, Linnane B, Skoric B, Robertson CF, Robinson P, et al. Infection, inflammation and lung function decline in infants with cystic fibrosis. Am J Respir Crit Care Med 2011;184:75–81.
[36] Kraynack NC, McBride JT. Improving care at cystic fibrosis centers through quality improvement. Semin Respir Crit Care Med 2009;30:547–558.
[37] Zemanick ET, Harris JK, Conway S, Konstan MW, Marshall B, Quittner AL, et al. Measuring and improving respiratory outcomes in cystic fibrosis lung disease: opportunities and challenges to therapy. J Cyst Fibros 2010;9:1–16.
[38] Glauser TA, Nevins PH, Williamson JC, Abdolrasulnia M, Salinas GD, Zhang J, et al. Adherence to the 2007 cystic fibrosis pulmonary guidelines: a national survey of CF care centers. Pediatr Pulmonol 2012;47:434–440.
[39] McPhail GL, Weiland J, Acton JD, Ednick M, Chima A, VanDyke R, et al. Improving evidence-based care in cystic fibrosis through quality improvement. Arch Pediatr Adolesc Med 2010;164:957–960.
[40] Stallings VA, Stark LJ, Robinson KA, Feranchak AP, Quinton H. Evidence-based practice recommendations for nutrition-related management of children and adults with cystic fibrosis and pancreatic insufficiency: results of a systematic review. J Am Diet Assoc 2008;108:832–839.
[41] Moen IE, Nilsson K, Andersson A, Fagerland MW, Fluge G, Hollsing A, et al. Dietary intake and nutritional status in a Scandinavian adult cystic fibrosis population compared with recommendations. Food Nutr Res 2011;55:7561.
[42] Leonard A, Davis E, Rosenstein BJ, Zeitlin PL, Paranjape SM, Peeler D, et al. Description of a standardized nutrition classification plan and its relation to nutritional outcomes in children with cystic fibrosis. J Pediatr Psychol 2010;35:6–13.
[43] Stark LJ, Opipari-Arrigan L, Quittner AL, Bean J, Powers SW. The effects of an intensive behavior and nutrition intervention compared to standard of care on weight outcomes in CF. Pediatr Pulmonol 2011;46:31–35.
[44] Davis PB. Cystic fibrosis since 1938. Am J Respir Crit Care Med 2006;173:475–482.
[45] CF Europe. http://www.cf-europe.eu/.
[46] Cystic Fibrosis Foundation Patient Registry. 2011 Annual Data Report. Bethesda, Maryland: Cystic Fibrosis Foundation; 2011 [http://www.cff.org/research/ClinicalResearch/PatientRegistryReport].
[47] Goss HG, Quittner AL. Patient-reported outcomes in cystic fibrosis. Proc Am Thorac Soc 2007;4:378–386.
[48] Mayer-Hamblett N, Ramsey BW, Kronmal AK. Advancing outcome measures for the new era of drug development in cystic fibrosis. Proc Am Thorac Soc 2007;4:370–377.
[49] European Medicines Agency. Committee for medicinal products for Human Use (CHMP). Guidelines on the Clinical Development of Medicinal Products for the Treatment of Cystic Fibrosis; Oct. 22 2009.[London, http://

www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Scientific_guideline/2009/12/WC500017055.pdf].
[50] Kerem E, Conway S, Elborn S, Heijerman H. for the Consensus Committee. Standards of care for patients with cystic fibrosis: a European consensus. J Cyst Fibros 2005; 4(7–26):20.
[51] Steinkamp G, Schwarz C, Stahl K, Busche MCF. Care through the patient's eyes — a nationwide survey on patients' experience and satisfaction with services using a CF-specific questionnaire. Pediatr Pulmonol 2012;47 (S35):404 (abstract 492).
[52] Quon BS, Goss CH. A story of success: continuous quality improvement in cystic fibrosis care in the USA. Thorax 2011;66:1106–1108.
[53] http://www.cftrust.org.uk/aboutus/annualreview/CF_Trust_Annual_Review_2011_%28web%29.pdf.
[54] https://www.cysticfibrosis.org.uk/media/82070/CD_Standards_of_Care_Dec_11.pdf.
[55] http://www.cff.org/treatments/CFCareGuidelines/AgeSpecificCare/.
[56] Batalden PB, Davidoff F. What is "quality improvement" and how can it transform healthcare? Qual Saf Health Care 2007;16:2–3.
[57] Sermet-Gaudelus I, Mayell SJ, Southern KW. Guidelines on the early management of infants diagnosed with cystic fibrosis following newborn screening. J Cyst Fibros 2010;9:323–329.
[58] Mehta G, Macek Jr M, Mehta A. European Registry Working Group. Cystic fibrosis across Europe: EuroCareCF analysis of demographic data from 35 countries. J Cyst Fibros 2010;9 (Suppl. 2):5–21.
[59] World Health. Organization. Guidance on developing quality and safety strategies with a health system approach. Copenhagen: World Health Organization Regional Office for Europe; 2008.
[60] Stern M, Niemann N, Wiedemann B, Wenzlaff P, German CFQA Group. Benchmarking improves quality in cystic fibrosis care: a pilot project involving 12 Centres. Int J Qual Health Care 2011;23:349–356.
[61] Ayers LR, Beyea SC, Godfrey MM, Harper DC, Nelson EC, Batalden PB. Quality improvement learning collaboratives. Qual Manag Health Care 2005;14:234–247.
[62] Rault G, Pougheon-Bertrand D, Gueganton L, Minguet G, Lombrail P. CF quality improvement program: a pilot phase to experiment the US QIP approach in France. W: Poster; ECFS Conference; June 6-9 2012.
[63] Schechter MS, Leonard A, Nash J, Quinton H, Richards K, Sabadosa K, et al. Benchmarking: signature themes. Pediatr Pulmonol 2006;(Suppl. 29):122–123.
[64] Homchick RG, Hayward LR. Chapter 16. Peer review and quality assurance requirements. In: Tremaine DW, JD Organization, editors. 3rd ed. Washington Health Law Manual; 2009.
[65] World Health Organization. Quality of care: a process for making strategic choices in health systems. Geneva: World Health Organization; 2006.
[66] Nelson EC, Batalden PB, Godfrey M. Measurement and monitoring. Quality by design: a clinical microsystems approach. Hoboken, NJ: John Wiley & Sons; 2007.
[67] McIntyre K, Shojania KG. The challenges of quality improvements reports and the urgent need for more of them. Thorax 2011;66:1020–1022.
[68] Shaw CD, Kalo I. A background for national quality policies in health systems. Copenhagen: World Health Organization Regional Office for Europe; 2002.
[69] Kulich M, Rosenfeld M, Goss CH, Wilmott R. Improved survival among young patients with cystic fibrosis. J Pediatr 2003;142:631–636.
[70] Mayer-Hamblett N, Rosenfeld M, Emerson J, Goss CH, Aitken ML. Developing cystic fibrosis lung transplant referral criteria using predictors of two year mortality. Am J Respir Crit Care Med 2002;166:1550–1555.
[71] Dasenbrook EC, Checkley W, Merlo CA, Konstan MW, Lechtzin N, Boyle MP. Association between respiratory tract methicillin-resistant Staphylococcus aureus and survival in cystic fibrosis. JAMA 2010;303:2386–2392.
[72] Quon BS, Mayer-Hamblett N, Aitken ML, Smyth AR, Goss CH. Risk factors for chronic kidney disease in adults with cystic fibrosis. Am J Respir Crit Care Med 2011;184: 1147–1152.
[73] Smyth A, Lewis S, Bertenshaw C, Choonara I, McGaw J, Watson A. Case–control study of acute renal failure in patients with cystic fibrosis in the UK. Thorax 2008;63: 532–535.
[74] Chamnan P, Shine BS, Haworth CS, Bilton D, Adler AI. Diabetes as a determinant of mortality in cystic fibrosis. Diabetes Care 2010;33:311–316.
[75] Johnson C, Butler SM, Konstan MW, Morgan W, Wohl ME. Factors influencing outcomes in cystic fibrosis: a center-based analysis. Chest 2003;123:20–27.
[76] Döring G, Flume P, Heijerman H, Elborn JS. Treatment of lung infection in patients with cystic fibrosis: current and future strategies. J Cyst Fibros 2012;11:461–479.
[77] Schechter MS, Gutierrez HH. Improving the quality of care for patients with cystic fibrosis. Curr Opin Pediatr 2010;22:296–301.
[78] Kraynack NC, Gothard MD, Falletta LM, McBride JT. Approach to treating cystic fibrosis pulmonary exacerbations varies widely across US CF care centers. Pediatr Pulmonol 2011;46:870–881.
[79] Mott LS, Park J, Murray CP, Gangell CL, de Klerk NH, Robinson PJ, et al. Progression of early structural lung disease in young children with cystic fibrosis assessed using CT. Thorax 2012;67:509–516.
[80] Sanders DB, Lai HJ, Rock MJ, Farrell PM. Comparing age of cystic fibrosis diagnosis and treatment initiation after newborn screening with two common strategies. J Cyst Fibros 2012;11:150–153.
[81] Calvin J, Hogg SL, McShane D, McAuley SA, Iles R, Ross-Russell R, et al. Thirty-years of screening for cystic fibrosis in East Anglia. Arch Dis Child 2012;97:1043–1047.
[82] Vernooij-van Langen AM, Loeber JG, Elvers B, Triepels RH, Gille JJ, Van der Ploeg CP, et al. Novel strategies in newborn screening for cystic fibrosis: a prospective controlled study. Thorax 2012;67:289–295.
[83] Walshe K. International comparisons of the quality of health care: what do they tell us? Qual Saf Health Care 2003;12:4–5.
[84] Dreachslin JL, Zernott M, Mendenhall S, Nieuwenjuijsen ER. Data comparability issues in international research and quality assurance. Qual Assur Health Care 1993;5: 143–156.
[85] W: Kerr EA, Asch SM, Hamilton EG, McGlynn EA, reds. Quality of care for general medical conditions: a review of the literature and quality indicators. Santa Monica, CA: RAND Corporation; 2000.
[86] Marshall MN, Shekelle PG, McGlynn EA, Campbell S, Brook RH, Roland MO. Can health care quality indicators be transferred between countries? Qual Saf Health Care 2003;12:8–12.
[87] Ellis J. Sharing the evidence: clinical practice benchmarking to improve continuously the quality of care. J Adv Nurs 2000;32:215–225.
[88] Goddard M, Mannion R, Smith P. Enhancing performance in health care: a theoretical perspective on agency and the role of information. Health Econ 2000;9:95–107.

[89] Sims G. International benchmarking from Centre level cystic fibrosis data. Pediatr Pulmonol 2010;45(S33):527.
[90] Conway S, Balfour-Lynn IM, De Rijcke K, Drevinek P, Foweraker J, Havermans T, et al. European Cystic Fibrosis Society Standards of Care: framework for the cystic fibrosis centre. J Cyst Fibros 2014;13:3–22.
[91] Gawande A. The bell curve. N Y Ann Med 2004 The New Yorker.
[92] Delaisi B, Grosskopf C, Reignault E, Goehrs JM, Navarro J. International registry on mucoviscidosis: comparison of the French data with the European data for 1995. Arch Pediatr 1998;5:384–388.
[93] Lai HC, Corey M, FitzSimmons S, Kosorok MR, Farrell PM. Comparison of growth status of patients with cystic fibrosis between the United States and Canada. Am J Clin Nutr 1999;69:531–538.
[94] Fogarty A, Hubbard R, Britton J. International comparison of median age at death from cystic fibrosis. Chest 2000;117:1656–1660.
[95] Koch C, Cuppens H, Rainisio M, Madessani U, Harms H, Hodson M, et al. European Epidemiologic Registry of Cystic Fibrosis (ERCF): comparison of major disease manifestations between patients with different classes of mutations. Pediatr Pulmonol 2001;31:1–12.
[96] McCormick J, Mehta G, Olesen HV, Viviani L, Macek Jr M, Mehta A, et al. Comparative demographics of the European cystic fibrosis population: a cross-sectional database analysis. Lancet 2010;375:1007–1013.
[97] Knudsen PK, Olesen HV, Høiby N, Johannesson M, Karpati F, Laerum BN, et al. Differences in prevalence and treatment of Pseudomonas aeruginosa in cystic fibrosis Centres in Denmark, Norway and Sweden. J Cyst Fibros 2009;8:135–142.
[98] Jackson AD, Daly L, Kelleher C, Marshall BC, Quinton HB, Foley L, et al. The application of current life table methods to compare cystic fibrosis median survival internationally is limited. J Cyst Fibros 2011;10:62–65.
[99] Boelle PY, Viviani L, Busson PF, Olesen H, Ravilly S, Stern M, et al. Reference percentiles for FEV1 and BMI in European children and adults with cystic fibrosis. Orphanet J Rare Dis 2012;7:64.
[100] Viviani L, Zolin A, Olesen HV. ECFSPR Annual Report 2008-2009. European Cystic Fibrosis Society Patient Registry; 2012.
[101] McCormick J, Sims EJ, Green MW, Mehta G, Culross F, Mehta A. Comparative analysis of Cystic Fibrosis Registry data from the UK with USA, France and Australasia. J Cyst Fibros 2005;4:115–122.
[102] Sims G. International benchmarking for cystic fibrosis patient outcomes using registry data. J Cyst Fibros 2009;8 (S2):S103.
[103] Cystic fibrosis data network. http://www.cysticfibrosisdata.org/metadataand-methodology.htm.
[104] Sims G. Outline and proposal for an international Cystic Fibrosis Data Network. http://www.cfww.org/programs/article/1319/Outline_and_proposal_for_an_international_Cystic_Fibrosis_Data_Network_April_2010; April 2010.