

MODELIZACIÓN ESTADÍSTICA DE LA RELACIÓN ENTRE LOS CUESTIONARIOS EQ-5D Y WOMAC

Laura Ansola

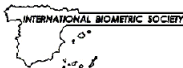
en colaboración con

Irantzu Barrio, Juan Carlos Arenaza, Isidoro García, Maider
Mateo-Abad, Josu Najera, Amaia Bilbao

Barcelona, Septiembre 2016



Universidad del País Vasco
Euskal Herriko Unibertsitatea



Osakidetza

BILBAO - BASURTO
ERAKUNDE SANITARIO INTEGRATUA
ORGANIZACIÓN SANITARIA INTEGRADA
BILBAC - BASURTO

ÍNDICE

1. Motivación
2. Objetivos
3. Base de datos
4. Metodología
 - 4.1 Modelos
 - 4.2 Covariables
5. Comparación de resultados
6. Conclusiones

MOTIVACIÓN

- Evaluación económica de tecnologías sanitarias
- Calidad de vida relacionada con la salud
- Cuestionario EQ-5D (Herdman et al., 2011)
 - Movilidad, auto-cuidado, actividades cotidianas, dolor/malestar y ansiedad/depresión
 - 5 respuestas posibles (1 – 5)
- Índice de utilidad en el intervalo $(-\infty, 1]$ (1 salud plena)

MOTIVACIÓN

- Evaluación económica de tecnologías sanitarias
- Calidad de vida relacionada con la salud
- Cuestionario EQ-5D (Herdman et al., 2011)
 - Movilidad, auto-cuidado, actividades cotidianas, dolor/malestar y ansiedad/depresión
 - 5 respuestas posibles (1 – 5)
- Índice de utilidad en el intervalo $(-\infty, 1]$ (1 salud plena)
- Artrosis de cadera y rodilla
- Cuestionario WOMAC (Bellamy et al., 1988)
 - Dolor (5 ítem)
 - Rigidez (2 ítem)
 - Limitación (17 ítem)
 - 5 respuestas posibles (0 – 4)
- 4 puntuaciones en el intervalo $[0, 100]$ (100 peor)

OBJETIVO

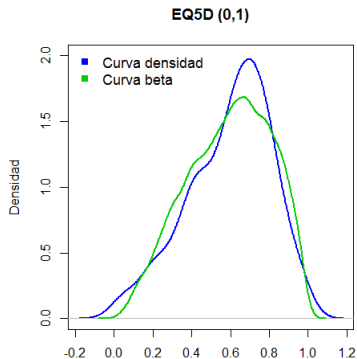
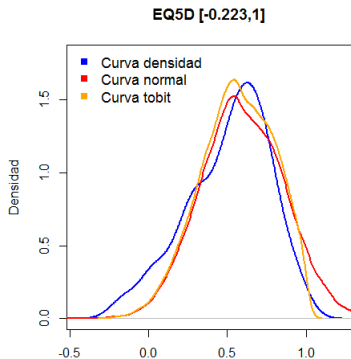
Estimar el índice de utilidad del EQ-5D a partir del WOMAC a través de funciones mapping

BASE DE DATOS

- 308 observaciones (154 artrosis de cadera y 154 de rodilla)
- 163 hombres y 145 mujeres (47.08%)
- Cumplimentados cuestionarios EQ-5D y WOMAC
- Índice EQ-5D intervalo $[-0.223, 1]$

BASE DE DATOS

- 308 observaciones (154 artrosis de cadera y 154 de rodilla)
- 163 hombres y 145 mujeres (47.08%)
- Complimentados cuestionarios EQ-5D y WOMAC
- Índice EQ-5D intervalo $[-0.223, 1]$



METODOLOGÍA: MODELOS

- Modelo lineal

METODOLOGÍA: MODELOS

- Modelo lineal
- Modelo tobit

$$L_{tobit}(\beta, \sigma; \mathbf{y}) = \prod_{i \in \{a < y_i^{to} < b\}} \frac{1}{\sigma} \phi\left(\frac{y_i - \mathbf{x}_i \beta}{\sigma}\right) \cdot \prod_{i \in \{y_i^{to} = a\}} \left[1 - \Phi\left(-\frac{a - \mathbf{x}_i \beta}{\sigma}\right)\right] \cdot \prod_{i \in \{y_i^{to} = b\}} \left[1 - \Phi\left(-\frac{b - \mathbf{x}_i \beta}{\sigma}\right)\right]$$

METODOLOGÍA: MODELOS

- Modelo lineal
- Modelo tobit

$$\begin{aligned} L_{tobit}(\beta, \sigma; \mathbf{y}) &= \prod_{i \in \{a < y_i^{to} < b\}} \frac{1}{\sigma} \phi\left(\frac{y_i - \mathbf{x}_i \beta}{\sigma}\right) \cdot \\ &\cdot \prod_{i \in \{y_i^{to} = a\}} \left[1 - \Phi\left(-\frac{a - \mathbf{x}_i \beta}{\sigma}\right)\right] \cdot \\ &\cdot \prod_{i \in \{y_i^{to} = b\}} \left[1 - \Phi\left(-\frac{b - \mathbf{x}_i \beta}{\sigma}\right)\right] \end{aligned}$$

- Modelo beta

$$L_{beta}(\alpha, \beta | \mathbf{y}) = \prod_{i=1}^n \frac{B(\alpha + 1, \mathbf{x}_i + \beta)}{B(\alpha, \beta)}$$

METODOLOGÍA: MODELOS

- Modelo lineal
- Modelo tobit

$$\begin{aligned} L_{tobit}(\beta, \sigma; \mathbf{y}) &= \prod_{i \in \{a < y_i^{to} < b\}} \frac{1}{\sigma} \phi\left(\frac{y_i - \mathbf{x}_i \beta}{\sigma}\right) \cdot \\ &\cdot \prod_{i \in \{y_i^{to} = a\}} \left[1 - \Phi\left(-\frac{a - \mathbf{x}_i \beta}{\sigma}\right)\right] \cdot \\ &\cdot \prod_{i \in \{y_i^{to} = b\}} \left[1 - \Phi\left(-\frac{b - \mathbf{x}_i \beta}{\sigma}\right)\right] \end{aligned}$$

- Modelo beta

$$L_{beta}(\alpha, \beta | \mathbf{y}) = \prod_{i=1}^n \frac{B(\alpha + 1, \mathbf{x}_i + \beta)}{B(\alpha, \beta)}$$

ASUMEN RELACIÓN LINEAL ENTRE VARIABLES

METODOLOGÍA: COVARIABLES

- Dimensiones ya validadas del cuestionario WOMAC
 - Estudio relación lineal entre cada dimensión y el EQ-5D mediante modelos aditivos generalizados (GAM)
 - Si la relación no es lineal consideramos las potencias necesarias hasta obtener residuos sin tendencia y homocedásticos

METODOLOGÍA: COVARIABLES

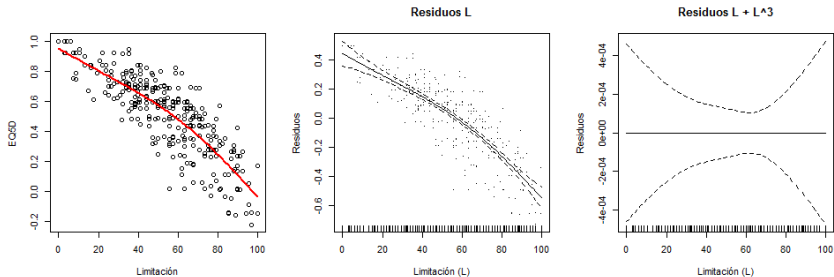
DIMENSIONES VALIDADAS

- Relación NO lineal con la variable respuesta → GAM

METODOLOGÍA: COVARIABLES

DIMENSIONES VALIDADAS

- Relación NO lineal con la variable respuesta \rightarrow GAM
- Ejemplo: limitación (L)



METODOLOGÍA: COVARIABLES

- Dimensiones ya validadas del cuestionario WOMAC
 - Estudio relación lineal entre cada dimensión y el EQ-5D mediante modelos aditivos generalizados (GAM)
 - Si la relación no es lineal consideramos las potencias necesarias hasta obtener residuos sin tendencia y homocedásticos
- Creación de una nueva dimensión mediante análisis de correspondencias múltiples (ACM). Propuesta realizada por Mateo-Abad et al. (2016).

METODOLOGÍA: COVARIABLES

CREACIÓN DIMENSIÓN (SCORE)

- Análisis de Correspondencias Múltiples

METODOLOGÍA: COVARIABLES

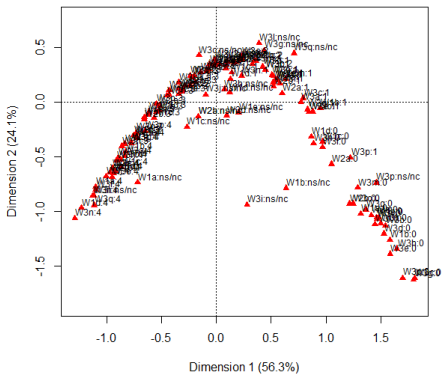
CREACIÓN DIMENSIÓN (SCORE)

- Análisis de Correspondencias Múltiples
- Primer plano factorial:

METODOLOGÍA: COVARIABLES

CREACIÓN DIMENSIÓN (SCORE)

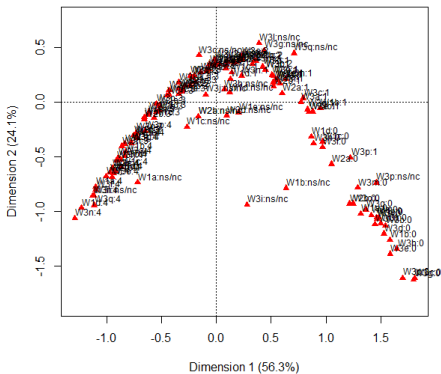
- Análisis de Correspondencias Múltiples
- Primer plano factorial: Efecto Guttman



METODOLOGÍA: COVARIABLES

CREACIÓN DIMENSIÓN (SCORE)

- Análisis de Correspondencias Múltiples
- Primer plano factorial: Efecto Guttman



- Score intervalo [0,100]

METODOLOGÍA: COVARIABLES

- Dimensiones ya validadas del cuestionario WOMAC
 - Estudio relación lineal entre cada dimensión y el EQ-5D mediante modelos aditivos generalizados (GAM)
 - Si la relación no es lineal consideramos las potencias necesarias hasta obtener residuos sin tendencia y homocedásticos
- Creación de una nueva dimensión mediante análisis de correspondencias múltiples (ACM). Propuesta realizada por Mateo-Abad et al. (2016).
- Ítems como variables predictoras: Selección de ítems
 - Métodos existentes en la literatura
 - Nueva propuesta de selección de variables basada en *bootstrap*

METODOLOGÍA: COVARIABLES

SELECCIÓN DE VARIABLES: Métodos existentes

- Dirección *backward* o *forward*
- Criterio AIC, BIC, ...
- Limitaciones: sobreajuste

METODOLOGÍA: COVARIABLES

SELECCIÓN DE VARIABLES: Métodos existentes

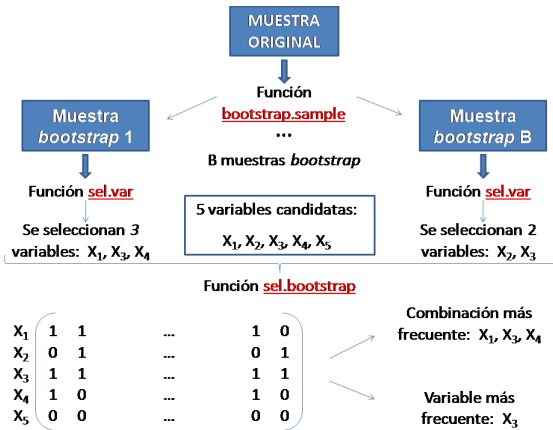
- Dirección *backward* o *forward*
- Criterio AIC, BIC, ...
- Limitaciones: sobreajuste

SELECCIÓN DE VARIABLES: Propuesta *bootstrap*

- Basada en modelo lineal
- Selección variables: AIC y *forward* (función sel.var)
- Evitar sobreajuste → técnica remuestreo *bootstrap*

METODOLOGÍA: COVARIABLES

SELECCIÓN DE VARIABLES: Propuesta *bootstrap*



COMPARACIÓN RESULTADOS: DIMENSIONES

- Mejores resultados tomando $D + L + L^3$
- Ajustados con la variable *edad*

COMPARACIÓN RESULTADOS: DIMENSIONES

- Mejores resultados tomando $D + L + L^3$
- Ajustados con la variable *edad*

MODELO LINEAL

RESULTADOS	EQ-5D	D+L+L ³	W+W ³	SCORE+SCORE ²
	Observado	Estimado		
DATOS (N)	308	306	305	308
Mean (SD)	0.5055 (0.2646)	0.5050 (0.2247)	0.5047 (0.2224)	0.505 (0.222)
Median	0.555	0.5352	0.5344	0.531
Range	[-0.223, 1]	[-0.154, 0.950]	[-0.134, 0.9432]	[-0.081, 0.919]
MODELO				
Adjusted R ²		0.7146	0.7075	0.7039
AIC		-320.811	-312.304	-313.850
MAE		0.1104	0.1128	0.1139

COMPARACIÓN RESULTADOS: DIMENSIONES

- Mejores resultados tomando $D + L + L^3$
- Ajustados con la variable *edad*

MODELO LINEAL

RESULTADOS	EQ-5D	D+L+L ³	W+W ³	SCORE+SCORE ²
	Observado	Estimado		
DATOS (N)	308	306	305	308
Mean (SD)	0.5055 (0.2646)	0.5050 (0.2247)	0.5047 (0.2224)	0.505 (0.222)
Median	0.555	0.5352	0.5344	0.531
Range	[-0.223, 1]	[-0.154, 0.950]	[-0.134, 0.9432]	[-0.081, 0.919]
MODELO				
Adjusted R ²		0.7146	0.7075	0.7039
AIC		-320.811	-312.304	-313.850
MAE		0.1104	0.1128	0.1139

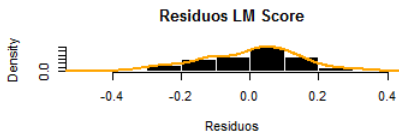
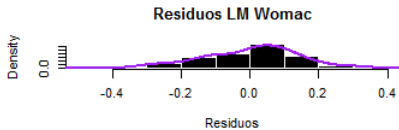
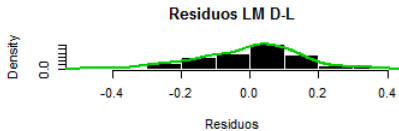
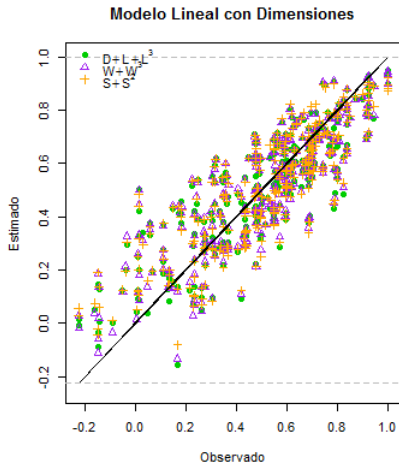
COMPARACIÓN RESULTADOS: DIMENSIONES

- Mejores resultados tomando $D + L + L^3$
- Ajustados con la variable *edad*

MODELO LINEAL

RESULTADOS	EQ-5D	D+L+L ³	W+W ³	SCORE+SCORE ²
	Observado		Estimado	
DATOS (N)	308	306	<u>305</u>	<u>308</u>
Mean (SD)	0.5055 (0.2646)	0.5050 (0.2247)	0.5047 (0.2224)	0.505 (0.222)
Median	0.555	0.5352	0.5344	0.531
Range	[-0.223, 1]	[-0.154, 0.950]	[-0.134, 0.9432]	[-0.081, 0.919]
MODELO				
Adjusted R ²		0.7146	0.7075	0.7039
AIC		-320.811	-312.304	-313.850
MAE		0.1104	0.1128	0.1139

COMPARACIÓN RESULTADOS: DIMENSIONES



COMPARACIÓN RESULTADOS: MODELOS

DIMENSIONES $D + L + L^3$

- Ajustados con la variable *edad*

COMPARACIÓN RESULTADOS: MODELOS

DIMENSIONES $D + L + L^3$

- Ajustados con la variable *edad*

RESULTADOS	EQ-5D	LINEAL	TOBIT	EQ-5D-01	BETA
	Observado	Estimado		Observado	Estimado
DATOS (N)	308	306	306	308	306
Mean (SD)	0.5055 (0.2646)	0.5050 (0.2247)	0.5058 (0.2279)	0.596 (0.216)	0.589 (0.192)
Median	0.555	0.5352	0.5347	0.636	0.622
Range	[-0.223, 1]	[-0.154, 0.950]	[-0.154, 0.965]	[0.002, 0.995]	[0.105, 0.908]
MODELO					
AIC		-320.811	-293.398		-447.450
MAE		0.1104	0.1103		0.0919

COMPARACIÓN RESULTADOS: MODELOS

DIMENSIONES $D + L + L^3$

- Ajustados con la variable *edad*

RESULTADOS	EQ-5D	LINEAL	TOBIT	EQ-5D-01	BETA
	Observado	Estimado		Observado	Estimado
DATOS (N)	308	306	306	308	306
Mean (SD)	0.5055 (0.2646)	0.5050 (0.2247)	0.5058 (0.2279)	0.596 (0.216)	0.589 (0.192)
Median	0.555	0.5352	0.5347	0.636	0.622
Range	[-0.223, 1]	<u>[-0.154, 0.950]</u>	[-0.154, 0.965]	[0.002, 0.995]	[0.105, 0.908]
MODELO					
AIC		-320.811	-293.398		-447.450
MAE		0.1104	0.1103		0.0919

COMPARACIÓN RESULTADOS: MODELOS

DIMENSIONES $D + L + L^3$

- Ajustados con la variable *edad*

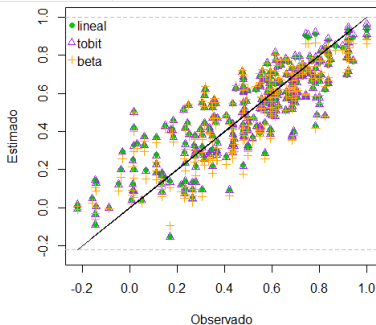
RESULTADOS	EQ-5D		LINEAL		TOBIT		EQ-5D-01		BETA	
	Observado	Estimado	Observado	Estimado	Observado	Estimado	Observado	Estimado	Observado	Estimado
DATOS (N)	308	306	306	306	308	306	308	306	308	306
Mean (SD)	0.5055 (0.2646)	0.5050 (0.2247)	0.5058 (0.2279)	0.5058 (0.2279)	0.596 (0.216)	0.589 (0.192)	0.596 (0.216)	0.589 (0.192)	0.596 (0.216)	0.589 (0.192)
Median	0.555	0.5352	0.5347	0.5347	0.636	0.622	0.636	0.622	0.636	0.622
Range	[-0.223, 1]	<u>[-0.154, 0.950]</u>	[-0.154, 0.965]	[-0.154, 0.965]	<u>[0.002, 0.995]</u>	<u>[0.105, 0.908]</u>	<u>[0.002, 0.995]</u>	<u>[0.105, 0.908]</u>	<u>[0.002, 0.995]</u>	<u>[0.105, 0.908]</u>
MODELO										
AIC		-320.811	-293.398	-293.398		-447.450		-447.450		-447.450
MAE		0.1104	0.1103	0.1103		0.0919		0.0919		0.0919

COMPARACIÓN RESULTADOS: MODELOS

DIMENSIONES $D + L + L^3$

- Ajustados con la variable *edad*

RESULTADOS	EQ-5D	LINEAL	TOBIT	EQ-5D-01	BETA
	Observado	Estimado		Observado	Estimado
DATOS (N)	308	306	306	308	306
Mean (SD)	0.5055 (0.2646)	0.5050 (0.2247)	0.5058 (0.2279)	0.596 (0.216)	0.589 (0.192)
Median	0.555	0.5352	0.5347	0.636	0.622
Range	[-0.223, 1]	<u>[-0.154, 0.950]</u>	[-0.154, 0.965]	<u>[0.002, 0.995]</u>	<u>[0.105, 0.908]</u>
MODELO					
AIC		-320.811	-293.398		-447.450
MAE		0.1104	0.1103		0.0919



COMPARACIÓN RESULTADOS: MODELO LINEAL

- Dimensiones (D y L) vs. ítems (5 dimensión L)
- Ajustados con la variable *edad*

COMPARACIÓN RESULTADOS: MODELO LINEAL

- Dimensiones (D y L) vs. ítems (5 dimensión L)
- Ajustados con la variable *edad*

RESULTADOS	EQ-5D	D+L+L ³	EQ-5D	Items
	<u>Observado</u>	<u>Estimado</u>	<u>Observado</u>	<u>Estimado</u>
DATOS (N)	308	306	282	282
Mean (SD)	0.5055 (0.2646)	0.5050 (0.2247)	0.506 (0.263)	0.506 (0.226)
Median	0.555	0.5352	0.553	0.528
Range	[-0.223, 1]	[-0.154, 0.950]	[-0.223, 1]	[-0.099, 0.950]
MODELO				
Adjusted R ²		0.7146		0.7181
AIC		-320.811		-288.330
MAE		0.1104		0.1033

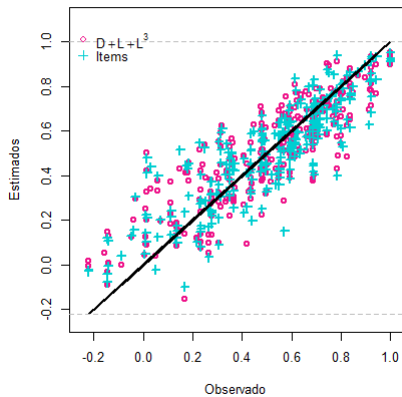
COMPARACIÓN RESULTADOS: MODELO LINEAL

- Dimensiones (D y L) vs. ítems (5 dimensión L)
- Ajustados con la variable *edad*

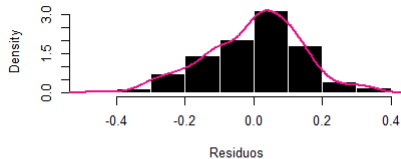
RESULTADOS	EQ-5D	D+L+L ³	EQ-5D	Items
	<u>Observado</u>	<u>Estimado</u>	<u>Observado</u>	<u>Estimado</u>
DATOS (N)	308	306	282	282
Mean (SD)	0.5055 (0.2646)	0.5050 (0.2247)	0.506 (0.263)	0.506 (0.226)
Median	0.555	0.5352	0.553	0.528
Range	[-0.223, 1]	[-0.154, 0.950]	[-0.223, 1]	[-0.099, 0.950]
MODELO				
Adjusted R ²		0.7146		<u>0.7181</u>
AIC		-320.811		-288.330
MAE		0.1104		<u>0.1033</u>

COMPARACIÓN RESULTADOS: MODELO LINEAL

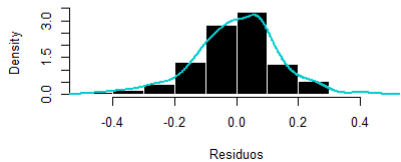
Lineal: Dimensiones Vs Items



Residuos LM Dim



Residuos LM Item



CONCLUSIONES

- Modelo lineal estimaciones intervalo $[-0.223, 1]$

CONCLUSIONES

- Modelo lineal estimaciones intervalo $[-0.223, 1]$
- Dimensiones existentes \rightarrow mayor muestra
- Dimensión creada basada en ACM \rightarrow admite NA-s
- Ítems \rightarrow los mejores resultados con SOLO 5 ítems

CONCLUSIONES

- Modelo lineal estimaciones intervalo $[-0.223, 1]$
- Dimensiones existentes \rightarrow mayor muestra
- Dimensión creada basada en ACM \rightarrow admite NA-s
- Ítems \rightarrow los mejores resultados con SOLO 5 ítems

FUTURAS MEJORAS FUNCIÓN SEL.VAR

- Generalizarla a otros modelos
- Modificarla para que admita NA-s

BIBLIOGRAFÍA

- Bellamy, N., Buchanan, W., Goldsmith, C., Campbell, J., and Stitt, L. (1988). Validation study of WOMAC: a health status instrument for measuring clinically important patient relevant outcomes to antirheumatic drug therapy in patients with osteoarthritis in the knee or hip. *The Journal of Rheumatology*, 20:167-178.
- Herdman, M., Gudex, C., and Lloyd, A. (2011). Development and preliminary testing of the new five-level version of EQ-5D (EQ-5D-5L). *Quality of Life Research*, 20: 1727-36.
- Mateo-Abad, M., Urkaregi, A., Lázaro, J. and Arostegui, I. (2016). Multiple Correspondence Analysis for score development from a questionnaire with a ranked one dimensional structure. Technical report.

MUCHAS GRACIAS