

שלום רב,

הפנה של דצמבר 2019 דנה בנושא של הטיות במחקרי RCT, שנועדו לאישור טיפולים חדשים לסרטן.

קישור למאמר:

<https://www.bmj.com/content/366/bmj.l5221>

מאמר זה סקר 39 מחקרים, שבאמצעותם אושרו לשימוש טיפולים חדשים לסרטן ב-EU, ופרט ממצאים מטרידים.

הבעיות העיקריות במחקרים, נבעו מאחת מהסיבות הבאות:

1. אישור שניתן על סמך משתנה ביניים (Surrogate Measure).
2. ריבוי של נתונים חסרים במחקר.

אישור על סמך משתנה ביניים

במחקרי סרטן, משתנה המטרה להוכחת יעילות הוא שרידות כללית (All-Cause Mortality). מכיוון שזמן ההמתנה להוכחת יעילות על סמך שרידות יכול להיות ארוך; עבור מחלות קשות, לפעמים מאשרים את הטיפול על סמך משתני ביניים, כמו: זמן עד חזרת המחלה (PFS) או שיעור התגובה (ORR). הבעיה היא שלא תמיד יש קשר בין משתני ביניים לשרידות (למשל הגידול קטן, אך שרידות החולה אינה משתפרת). אין פסול באישור טיפול על סמך משתנה ביניים, כל עוד התהליך שקוף, וברור לכולם שיתכן שהתרופה תיפסל לאחר זמן. כאשר אין שקיפות כזו, יש כאן חשש לתרמית הציבור.

ריבוי של נתונים חסרים במחקר

נשירה (Dropout) של נחקרים או חוסר היענות (Non-compliance) תמיד מהווה בעיה במחקרים. ההסקה לגבי יעילות הטיפול, במחקר RCT, נכונה רק אם קבוצות המחקר והביקורת דומות במאפייני הבסיס שלהן. אם הנשירה או חוסר ההיענות, שונה בין קבוצת המחקר לקבוצת ההשוואה, אז אי אפשר לדעת אם השוני בשרידות בין הקבוצות, היא בגלל השוני בטיפול או בגלל השוני בין מאפייני הבסיס. חוסר הקפדה על שלמות הנתונים, פוגעת קשות בהוכחת יעילות הטיפול.

לסיכום, גם אם הטיפול אושר באמצעות RCT, כדאי לבחון את המחקר שבוצע, בעין ביקורתית.

ציפי שוחט,

יועצת סטטיסטית, מרכז רפואי רבין

מסונף לבית הספר לרפואה ע"ש סאקלר, אוניברסיטת ת"א