



Krakowska Akademia

im. Andrzeja Frycza Modrzewskiego

WYDZIAŁ LEKARSKI I NAUK O ZDROWIU

ul. G. Herlinga-Grudzińskiego 1, 30-705 Kraków
tel. (12) 252 45 05, (12) 252 45 20, fax: (12) 252 45 02
e-mail: wlnz@afm.edu.pl

Prof. dr hab. med. Monika Rudzińska-Bar
Kierownik Katedry i Kliniki Neurologii
Wydział Lekarski i Nauk o Zdrowiu
Karkowska Akademia im. Andrzeja Frycza Modrzewskiego
w Krakowie
Email: mrudzinska@afm.edu.pl

Kraków, 5.05.2020

Recenzja

rozprawy na stopień doktora nauk medycznych i nauk o zdrowiu

mgr Ewy Modrzewskiej- Zielonka

pt.: „Ocena obciążenia opiekunów sprawujących opiekę nad osobami z chorobą Huntingtona”

Badanie obciążenia opiekunów sprawujących opiekę nad osobami z chorobą Huntingtona (chH) to temat ciekawy z punktu widzenia klinicznego, ale także z punktu widzenia poznawczego. Choroba Huntingtona jest schorzeniem rzadkim niemniej jednak wymaga intensywnego zaangażowania opiekuna pełniącego opiekę nad chorym przez wiele lat jego życia. Średni czas przeżycia chorych od postawienia rozpoznania wynosi około 15-20 lat. Niemniej jednak opieka nad chorym i w perspektywie nad jego dziećmi prawdopodobnie także nosicielami mutacji, którzy zachorują w przyszłości jest olbrzymim wyzwaniem psychicznym jak również fizycznym dla opiekunów. Brak skutecznego leczenia objawów poznawczych w chorobie Huntingtona, specyfika obrazu klinicznego z licznie występującymi zaburzeniami behawioralnymi, brak odpowiednio zorganizowanej opieki instytucjonalnej dla chorych jak również niewielka znajomość problematyki tej choroby wśród lekarzy pierwszego kontaktu, czyni opiekunów osobami osamotnionymi w zmaganiu się z problemami społecznymi jak zdrowotnymi ich podopiecznych. Trudności i problemy opiekunów pacjentów z chorobami zwyrodnieniowymi mózgu takimi jak np. choroba Alzheimera i choroba Parkinsona były przedmiotem kilkudziesięciu prac. Jest to zagadnienie

niezwykle ważne ze względu na wymiar społeczny tego problemu - wzrastająca liczba osób w wieku senioralnym sprzyja częstszemu występowaniu chorób neurozwyrodnieniowych i powoduje konieczność przejęcia funkcji opiekuńczych najczęściej przez rodzinę. Badania dotyczące obciążenie opiekunów chorych z chorobą Huntingtona to pojedyncze publikacje. Dlatego wybór tematu pracy należy więc uznać za trafny i w głównym nurcie współczesnych badań klinicznych w omawianym zakresie.

Przesłana do recenzji praca doktorska obejmuje 190 strony znormalizowanego druku komputerowego i ma tradycyjny układ. Wstęp jest stosunkowo długi, zajmuje 22 stron. Założenia i cele pracy, to kolejne 2 strony. Rozdziały pt. „Materiał” i „Metody” obejmują 12 stron. Obszerniejszą częścią pracy jest rozdział opisujący wyniki pracy – 108 stron, w tym 68 rycin i 84 tabel obrazujących uzyskane wyniki. Zasadniczy trzon pracy zamyka dyskusja – 13 stron i wioski - 1strona. Spis piśmiennictwa stanowi 16 stron. Doktorantka zamieściła 278 pozycji publikacji w większości powstałych w ostatnich latach. Ponadto Doktorantka dołączyła streszczenie w języku polskim i angielskim oraz aneks zawierający narzędzia wykorzystywane w pracy, który stanowi ich wykaz oraz 10 załączników skal do oceny stanu klinicznego pacjenta (*UHDRS Motor Assessment, UHDRS Behaviour Assessment, UHDRS Cognitive Assessment* w tym 3 formularze Testu Stroopa, Test Cyfr-Symboli, Test Fluencji Słownej, *UHDRS Functional Assessment, UHDRS Independence Skale, UHDRS Total Functional Capacity, Global Clinical Impresion*), 4 załączniki z kwestionariuszami ankiet służących do oceny obciążenia opiekuna (*Caregiver Burden Inventory, Zarit Burden Interview, Caregiver Burden Scale*) oraz skalę oceny nastroju (*Patient Health Questionnaire-PHQ-9*).

Praca została wykonana na grupie opiekunów pacjentów pochodzących z rejestru Europejskiej Sieci Choroby Huntingtona z ośrodka EHDN w Poznaniu zarekrutowanych do badania w latach 2007-2014. Badanie było przeprowadzone za zgodą Komisji Bioetyki przy Uniwersytecie Medycznym im. Karola Marcinkowskiego w Poznaniu.

Przedstawiona praca nie budzi żadnych wątpliwości co do oryginalności. Opis metodologii i przedstawione wyniki są odpowiednio dokładne i umożliwiają innym badaczom powtórzenie badania w celu weryfikacji wyników na innym materiale.

Wstęp pracy został podzielony na trzy części. W pierwszej, Doktorantka po krótkim opisie specyfiki choroby Huntingtona uzasadniła dlaczego podjęła ten ważny temat badawczy. W kolejnym rozdziale opisała podstawowy stan wiedzy na temat historii odkrycia i



opisania choroby Huntingtona, jej epidemiologii, etiopatogenezy, obrazu klinicznego, kryteriów rozpoznania i leczenia. Na uwagę zasługuje szczegółowo napisany rozdział dotyczący szerokiego spektrum objawów klinicznych zarówno ruchowych, poznawczych i psychicznych. W rozdziale dotyczącym obciążenia opiekuna osoby z chorobą Huntingtona autorka dokonała przeglądu wielu prac dotyczących problemów opiekunów przewlekle chorych pacjentów cierpiących zarówno na zaburzenia psychiatryczne jak i neurologiczne o różnych etiologiach (chorzy poudarowi, cierpiący na choroby zwyrodnieniowe takie jak otępienie alzheimerowskie lub choroba Parkinsona). W kolejnej części wstępu scharakteryzowała specyfikę opieki nad chorym z chorobą Huntingtona, która jest zależna od etapu choroby oraz zamieściła także krótki podrozdział poświęcony opiece nad chorym w kontekście relacji małżeńskich i rodzinnych. Następnie Doktorantka przedstawiła opiekę nad chorym z chH w aspekcie niewystarczającego wsparcia medycznego spowodowanego brakiem wiedzy i doświadczenia personelu medycznego w opiece nad chorymi z tą rzadką chorobą. W kolejnym rozdziale poddała analizie strategię radzenia sobie opiekuna z sytuacją, które wielokrotnie nie są właściwe bowiem oparte na negacji. W ostatnim fragmencie wstępu w osobnym podrozdziale Autorka porusza problem znaczenie niedocenianej roli opiekuna osoby przewlekle chorej, który również wymaga wsparcia poprzez udział w programach psychospołecznych, psychoterapeutycznych i edukacyjnych, aby mógł nadal pełnić swoją rolę. Wstęp jest długi, ale napisany treściwie, zawiera najważniejsze informacje konieczne do odbioru pracy. Napisany jest merytorycznie poprawnie i dokumentuje odpowiednie przygotowanie Doktorantki do podjęcia tematu pracy.

Na uwagę zasługuje ten fragment wstępu, który dotyczy niewielkiej ilości badań dotyczących problemów opiekunów chorych z rzadkimi chorobami neurologicznymi takimi jak choroba Huntingtona. Podjęcie tego tematu jest niezwykle ważne, gdyż prowadzi do sformułowania praktycznie przydatnych wniosków szeroko stosowanych w poradnictwie, programach edukacyjnych oraz opracowaniu metod wsparcia dla opiekunów. Ten temat nie był badany w odniesieniu do choroby Huntingtona i wiedza autorki w zakresie problemów opiekunów jest szczególnie ważna.

Cele pracy są sformułowane krótko, ale jasno i rzeczowo. Na ich podstawie można określić ogólny cel pracy, którym było przeanalizowanie problematyki obciążenia opiekunów sprawujących opiekę nad osobami z chorobą Huntingtona w aspekcie oceny wpływu poszczególnych objawów chH (ruchowych, poznawczych i psychicznych) na obciążenie opiekunów oraz zależności obciążenia od czynników związanych z opiekunem



(demograficznych oraz psychologicznych). Cele pracy zostały uzupełnione opisem założeń badania oraz sformułowaniem siedmiu hipotez badawczych.

Równie krótko, ale wyczerpująco opisany jest materiał i stosowane metody. Badanie przeprowadzono na 144 parach opiekunów i pacjentów z genetycznie potwierdzoną chorobą Huntingtona zarekrutowanych w latach 2007-2017 do badania REGISTRY. Doktorantka jasno zdefiniowała etap pierwszy i drugi badania. Drugi etap badania polegał na analizie danych z kwestionariuszy ankiet opiekunów, które zostały rozesłane drogą pocztową w okresie od maja do lipca 2019. Uzyskano do analizy zwrotnie 114 ankiet dotyczących opieki nad chorym. Autorka szczegółowo opisała narzędzia badawcze a wszystkie stosowane skale i kwestionariusze umieściła w 14 załącznikach pracy. Na uwagę zasługuje szczegółowa ocena stanu klinicznego chorych z chH. Ocenę poszczególnych objawów ruchowych, psychicznych i poznawczych wykonana wg ujednoliconych skal UHDRS *United Huntington's Disease Rating Scale*, do oceny zaburzeń funkcjonowania zastosowano 3 skale funkcjonalne (*UHDRS Functional Assessment, Independence Scale* oraz *Total Functional Capacity*) do oceny nasilenia choroby skalę *Global Clinical Impression* a do oceny biologicznego zaawansowania choroby zastosowano obliczony parametr *Disease Burden*.

Doktorantka wykazała, że opieka nad chorym z chorobą Huntingtona wraz z narastaniem jej objawów determinuje wzrost obciążenia opiekuna w wielu aspektach, między innymi poczucie konieczności udzielania pomocy i wyręczania podopiecznego oraz straty czasu z tym związanej. Narastania obciążenia opiekuna nie powoduje adaptacji do tej sytuacji ani też nie obserwuje się jego przeciążenia. Doktorantka udokumentowała, że zaburzenia zachowania oraz funkcji poznawczych u podopiecznego najsilniej wpływają na poczucie obciążenia opiekuna. Istotny wpływ na obciążenie opiekuna ma także niesprawność funkcjonalna chorego, która determinowana jest przez wiele objawów zarówno ruchowych jak i pozaruchowych. Przeprowadzone badanie wykazało ponadto częste, bowiem dotyczące aż 1/3 osób występowanie nastrojów depresyjnych u opiekunów pacjentów cierpiących na chH. Przedstawione wyniki badań ujawniły, że opiekunowie w starszym wieku, płci żeńskiej, z wyższym wykształceniem, niepracujący (zrezygnowali z zatrudnienia) i opiekujący się współmałżonkiem doświadczają większego obciążenia opieką jak również częściej występują u nich nastrojów depresyjny. Należy podkreślić, zastosowanie bardzo ważnego elementu pracy do którego należy ocena nastroju depresyjnego opiekuna Kwestionariuszem Zdrowia Pacjenta - *Patient Health Questionnaire - PHQ-9*. Niemniej jednak należy zaznaczyć, że kwestionariusz powyższy nie jest podstawą do rozpoznania depresji, ale jedynie obniżenia



nastroju a więc podział, grupy opiekunów na grupy bez depresji, łagodna, umiarkowana, umiarkowana ciężka depresją jest niepoprawny. Rozpoznanie depresji wymaga konsultacji lekarskiej i powinno odbywać się wg kryteriów ICD10 lub DSM IV.

Ważną wartością badawczą recenzowanej pracy jest dokonanie walidacji Inwentarza Obciążenia Opiekuna (*CBI Caregiver Burden Inventory*), która wykazała wewnętrzną spójność kwestionariusza, potwierdzając wyniki uzyskane dla wersji w innych językach (angielski, hiszpański, portugalski, włoski, chiński) oraz dokonanie oszacowania trafności zbieżnej z Wywiadem Obciążenia Zarita (*Zarit Burden Interview*) oraz Skalą Obciążenia Opiekuna (*Caregiver Burden Scale*), które są zwalidowane i powszechnie stosowane w Polsce.

Rozdział poświęcony dyskusji jest stosunkowo krótki, ale podobnie jak wstęp, treściwy. W jednym rozdziale doktorantka podsumowała własne wyniki i skonfrontowała je z dotychczas opublikowanymi. W mojej ocenie odniosła się do wszystkich najważniejszych publikacji w badanym temacie, a sposób ich omówienia świadczy o znajomości treści tych publikacji.

Na podstawie przeprowadzonych badań doktorantka sformułowała 3 wnioski. Stanowią one logiczne podsumowanie uzyskanych wyników. Wnioski są napisane klarownie i pozwalają czytelnikowi na zapoznanie się z najważniejszymi osiągnięciami pracy.

Do ogólnych mankamentów pracy należy zaliczyć niewłaściwą terminologię w podziale grupy opiekunów z rozpoznaniem depresji a nie obniżenia nastroju. Ponadto praca wymaga korekty gramatycznej i poprawy nazewnictwa. W niektórych fragmentach tekstu znajdujemy niepoprawną nazwę „choroba Alzheimera” zamiast „choroba Alzheimer’a”. (np.str. 149, 152). Podobnie w tabeli 3, 4, 9, 10, 19, 22, widnieje nieprawidłowa nazwa skali *General Clinical Impression* zamiast *Global Clinical Impression Scale*.

Podsumowując, mgr Ewa Modrzejewska-Zielonka przedstawiła do recenzji oryginalną pracę o charakterze naukowym, która została zrealizowana w oparciu o rzetelny warsztat badawczy obejmujący zarówno ocenę kliniczną chorych jak i analizę kwestionariuszy i ankiet ich opiekunów. Pisząc tą pracę Autorka wykazała się znajomością odpowiedniego piśmiennictwa, umiejętnością doboru metod badawczych, prezentacji wyników i wyciągania wniosków z przeprowadzonych badań. Zakres przeprowadzonych badań był obszerny, a ich omówienie wystarczające. Uzyskane wyniki stanowią wkład Doktorantki do wiedzy na temat



czynników, które wpływają na obciążenie opiekunów sprawujących opiekę nad osobami z chorobą Huntingtona. Wykazane powyżej wady pracy mają charakter formalny i nie umniejszają w żaden sposób jej merytorycznej wartości.

Z przedstawionych wyżej względów przedstawiam Wysokiej Radzie Naukowej Uniwersytetu Medycznego im. Karola Marcinkowskiego w Poznaniu wniosek o dopuszczenie mgr Ewy Modrzejewskiej - Zielonki do dalszych etapów przewodu doktorskiego. Ze względu na oryginalność tematu, rzetelną metodologię oraz bardzo interesujące poznawczo opracowanie wyników wnioskuję o wyróżnienie pracy.

Kierownik
Katedry Neurologii
M. Rudzińska-Bar

prof. zw. dr hab. Monika Rudzińska-Bar
5.05.2020