

Simposio internazionale di pedagogia speciale

Diagnosi e Terapia Precoci per i Disturbi dello Sviluppo Neuro Psicomotorio

DTP-DSNP Study

Verona - Italy 5-6-7 maggio 2006

← IDOS INFOSTAT

Eidos InfoStat

www.eidos-infostat.it

Associazione A.R.C.

www.arreci.org

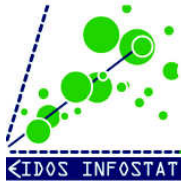


Massimo Guerriero

Dipartimento E.S.I. - Sezione Statistica

Università degli Studi di Verona

◀ IDOS INFOSTAT

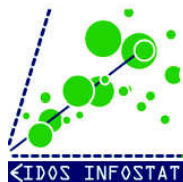


Introduzione

Indagini Statistiche
Consulenza Aziendale

Obiettivi: dimostrare l'efficacia della diagnosi e della terapia precoci adottate presso l'Associazione A.R.C. di Verona

Popolazione: 250 soggetti circa dei quali 96 con Case Report Form (CRF) idoneo alle elaborazioni statistiche

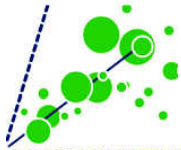


Premessa

Indagini Statistiche
Consulenza Aziendale

Lo stato attuale del soggetto viene rappresentato dal valore assunto da 7 variabili:

1. Diritto di assegno di accompagnamento
2. Attività corporale
3. Attività di spostamento/locomozione
4. Comunicazione
5. Lettura/scrittura
6. Attività di gestione della vita quotidiana
7. Autonomia in 2, 3, 6 e parla e capisce al livello dei coetanei



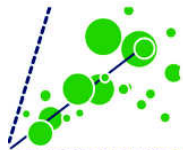
H-Score

Rappresentare i soggetti attraverso le 7 variabili è estremamente complesso.

Si è proposto un punteggio (**h-SCORE**) in grado di **condensare** l'informazione contenuta nelle 7 variabili attraverso una **tecnica statistica** nota come **Polychoric PCA** (per dati ordinali).

L'**h-score** indica quindi il **livello della situazione attuale** in termini di autonomia, comunicazione, mobilità, lettura e scrittura.

Prende valori da **0** (pessimo) a **10** (ottimo).



H-Score

EIDOS INFOSTAT

Indagini Statistiche
Consulenza Aziendale

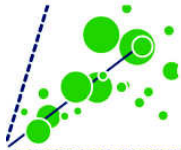
È idoneo l'H-score? Funziona bene?

EIDOS Infostat s.a.s.
sede legale:
Via Magellano, 6 - 37012 Bussolengo (Verona)

P. IVA 03304340239
www.eidos-infostat.it
info@eidos-infostat.it

EIDOS Infostat s.a.s.
sede operativa:
Via Boiardo, 23 - 44100 Ferrara

Tel. - Fax. 0532.209960
cell. 349.6221033



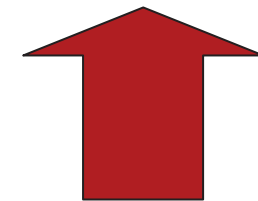
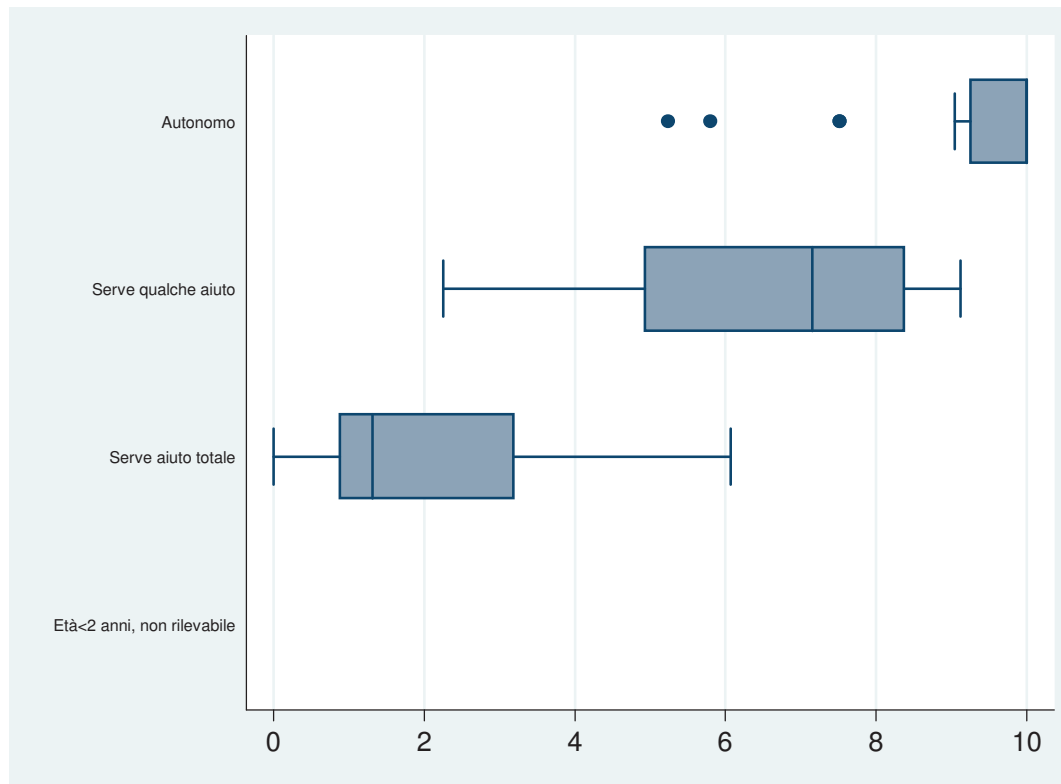
h-score e attività corporale

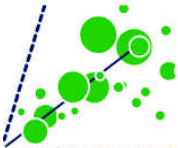
Indagini Statistiche
Consulenza Aziendale

EIDOS INFOSTAT

Distribuzione dell'indice nei sottogruppi per livello di attività corporale

| Attività corporale | med(outcome1) | iqr(outcome1) | mean(outcome1) | sd(outcome1) |
|----------------------------|---------------|---------------|----------------|--------------|
| Autonomo | 10 | .7505076 | 9.2890301 | 1.431039 |
| Serve qualche aiuto | 7.1514573 | 3.446847 | 6.7677372 | 2.063442 |
| Serve aiuto totale | 1.3121529 | 2.306624 | 1.9724733 | 1.770364 |
| Età<2 anni, non rilevabile | | | | |

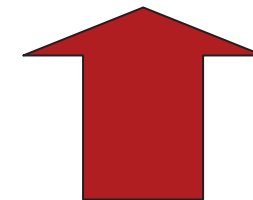
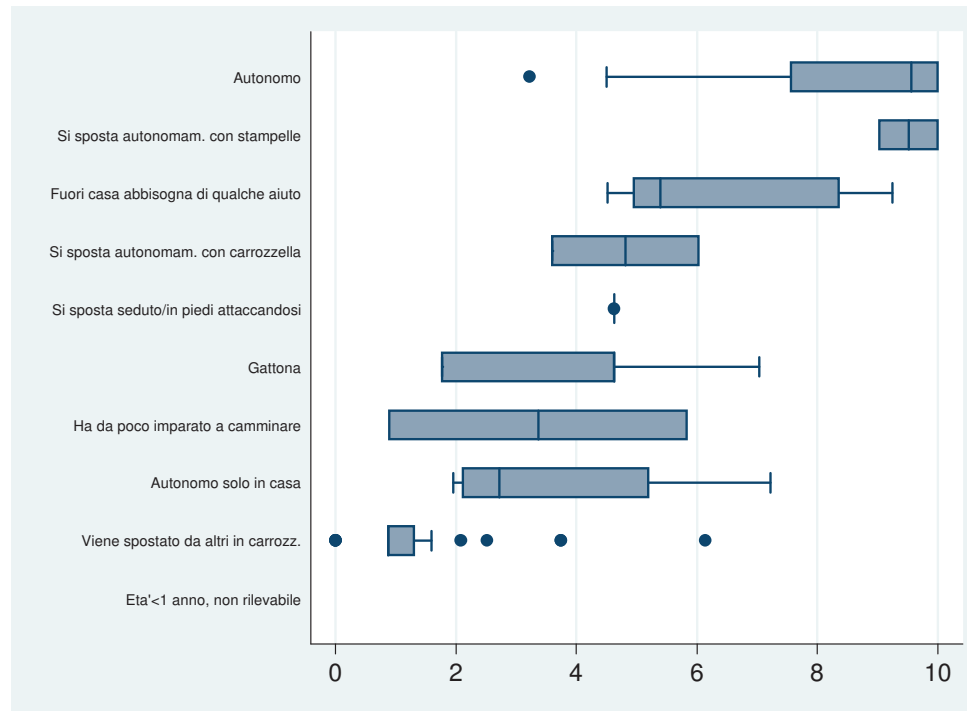


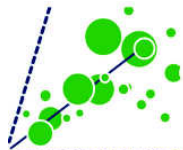


h-score e spostamento/locomozione

Distribuzione dell'indice nei sottogruppi per livello di spostamento-locomozione

| Attivita' di spostamento-locomozione | med(outcome1) | iqr(outcome1) | mean(outcome1) | sd(outcome1) |
|--|---------------|---------------|----------------|--------------|
| Autonomo | 9.5612424 | 2.487629 | 8.5206833 | 2.021655 |
| Si sposta autonomamente con stampelle | 9.5203907 | .9592186 | 9.5203907 | .67827 |
| Fuori casa abbisogna di qualche aiuto | 5.3638875 | 3.446847 | 6.2944083 | 2.014393 |
| Si sposta autonomamente con carrozzella | 4.8241399 | 2.487629 | 4.8241399 | 1.759019 |
| Si sposta da seduto o in piedi attaccand | 4.6844033 | 0 | 4.6844033 | |
| Gattona | 4.6844033 | 2.920683 | 3.9906889 | 2.251929 |
| Ha da poco imparato a camminare | 3.3820286 | 4.994814 | 3.3820286 | 3.531867 |
| Autonomo solo in casa | 2.699087 | 3.094923 | 3.6490324 | 2.450971 |
| Viene spostato da altri in carrozzella | .8790983 | .4330546 | 1.2974202 | 1.373511 |
| Eta' < 1 anno, non rilevabile | | | | |

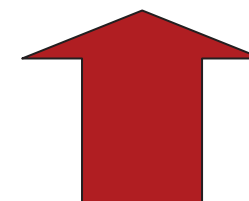
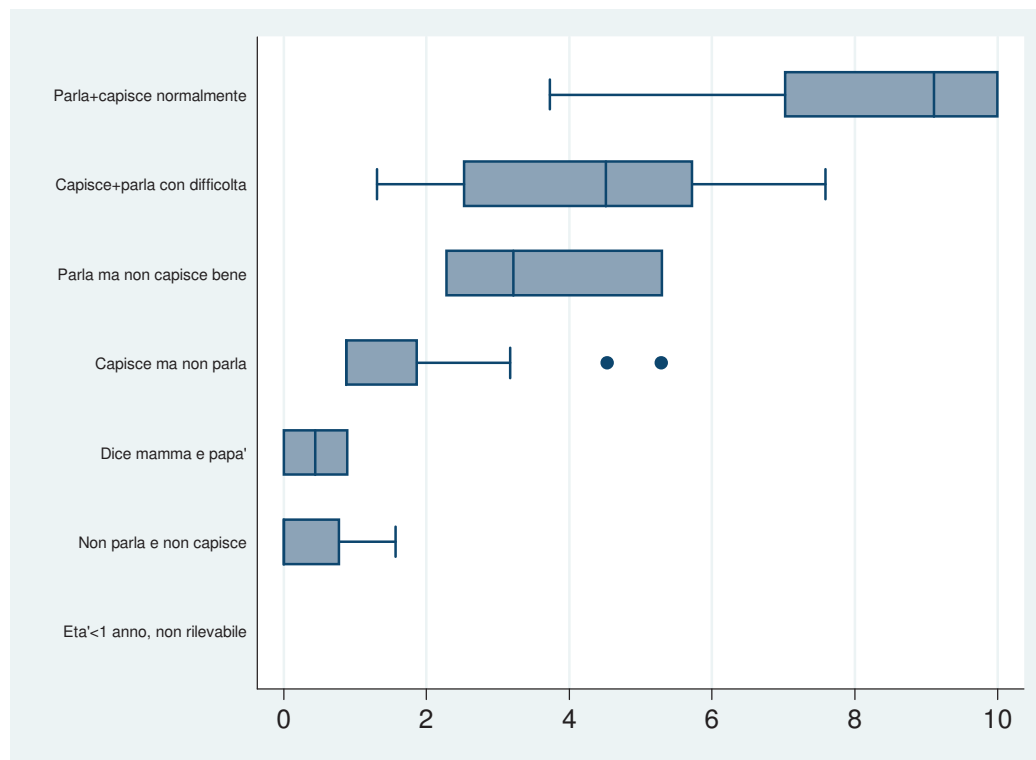


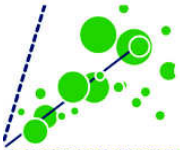


h-score e comunicazione

Distribuzione dell'indice nei sottogruppi per livello di comunicazione

| RECODE of comunicazione (Comunicazione) | med(outcome1) | iqr(outcome1) | mean(outcome1) | sd(outcome1) |
|--|---------------|---------------|----------------|--------------|
| Parla e capisce normalmente | 9.1224847 | 2.942802 | 8.3110301 | 2.071603 |
| Capisce ma parla con difficolta' | 4.4806054 | 4.363485 | 4.0130779 | 2.308932 |
| Parla ma non capisce bene | 3.185722 | 2.990097 | 3.5592083 | 1.529637 |
| Capisce ma non parla | .8790983 | .9788812 | 1.5932008 | 1.281122 |
| Dice mamma e papa' | .4423109 | .8846218 | .4423109 | .6255221 |
| Non parla e non capisce | 0 | 0 | 0 | 0 |
| Eta'<1 anno, non rilevabile | | | | |

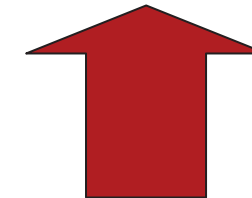
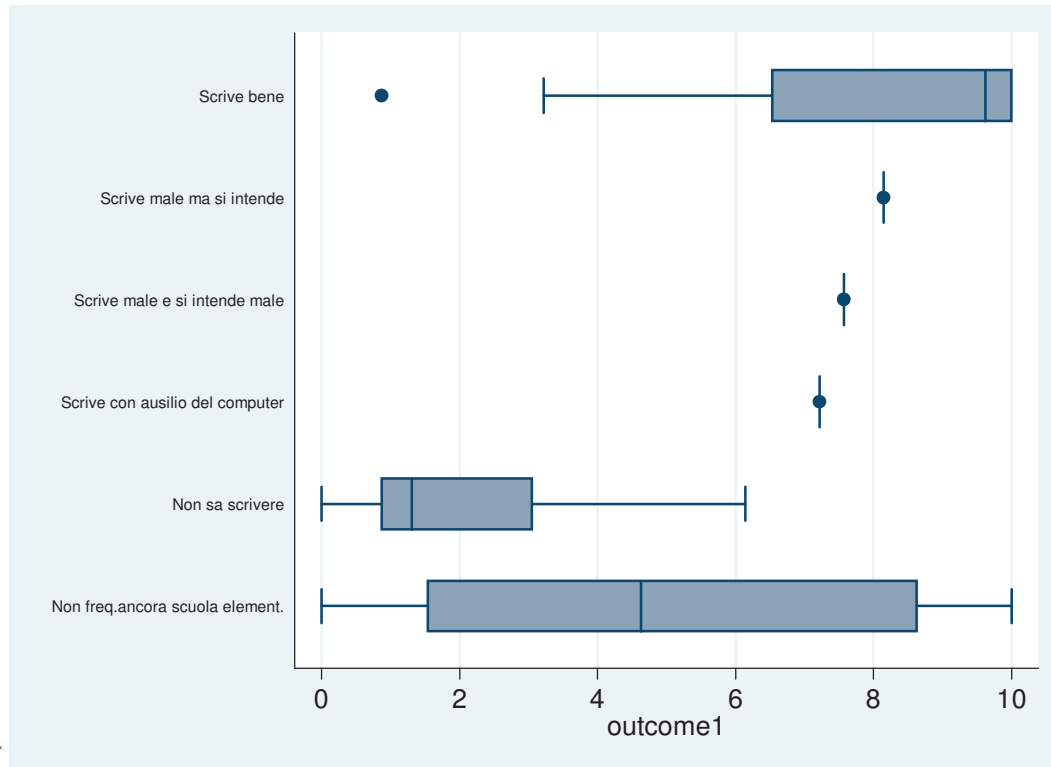


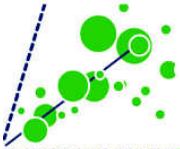


h-score e scrittura

Distribuzione dell'indice nei sottogruppi per livello di scrittura

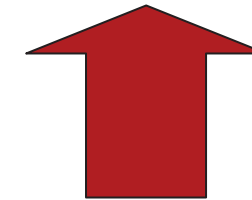
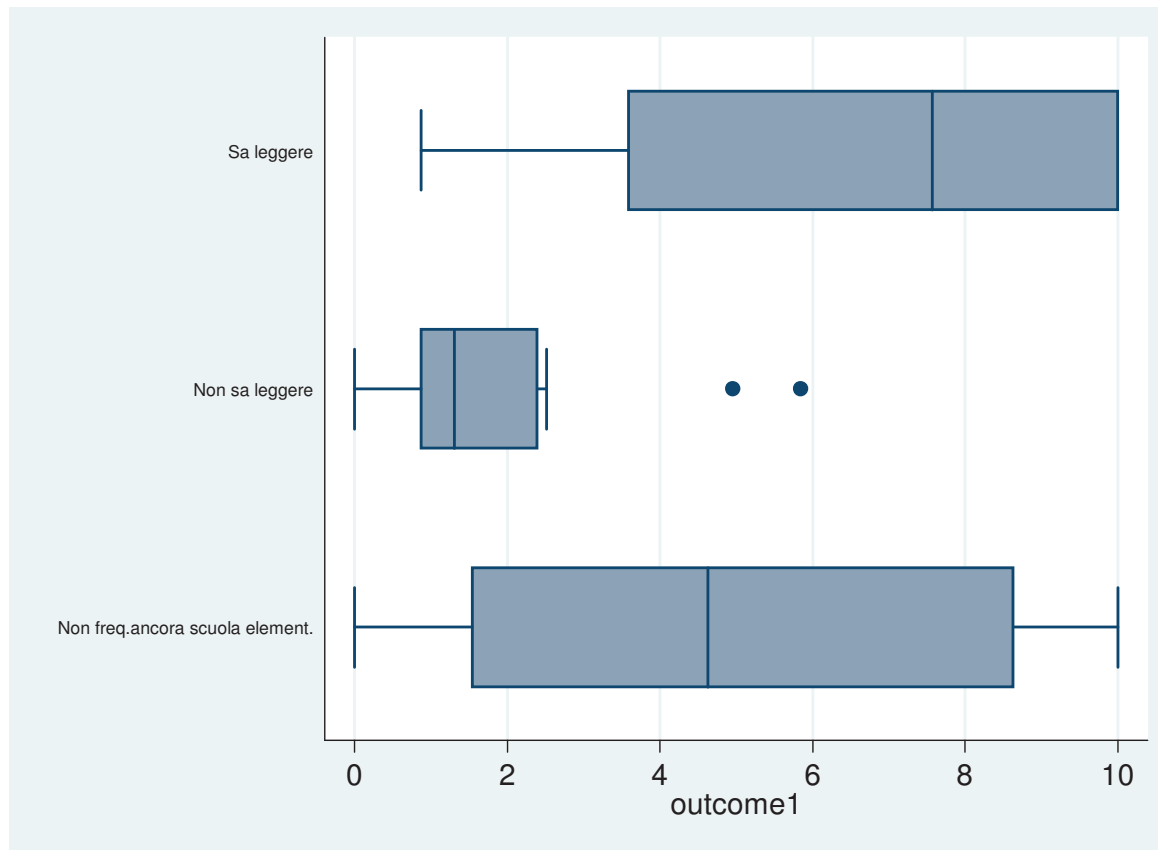
| RECODE of temp (Scrittura) | med(outcome1) | iqr (outcome1) | mean (outcome1) | sd (outcome1) |
|---------------------------------|---------------|----------------|-----------------|---------------|
| Scrive bene | 9.6247462 | 3.437424 | 8.1450056 | 2.721587 |
| Scrive male ma si intende | 8.1632661 | 0 | 8.1632661 | |
| Scrive male e si intende male | 7.5123715 | 0 | 7.5123715 | |
| Scrive con ausilio del computer | 7.2457167 | 0 | 7.2457167 | |
| Non sa scrivere | 1.0956256 | 2.164657 | 1.9564347 | 1.900971 |
| Non freq.ancora scuola element. | 4.6844033 | 7.104939 | 4.9487286 | 3.541493 |

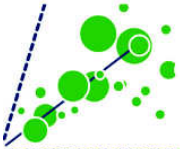




h-score e lettura

| RECODE of temp (Lettura) | med(outcome1) | iqr(outcome1) | mean(outcome1) | sd(outcome1) |
|---------------------------------|---------------|---------------|----------------|--------------|
| Sa leggere | 7.5123715 | 6.419674 | 6.5732142 | 3.525769 |
| Non sa leggere | 1.3121529 | 1.939495 | 1.7650432 | 1.873414 |
| Non freq.ancora scuola element. | 4.6844033 | 7.104939 | 4.9487286 | 3.541493 |

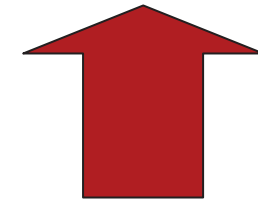
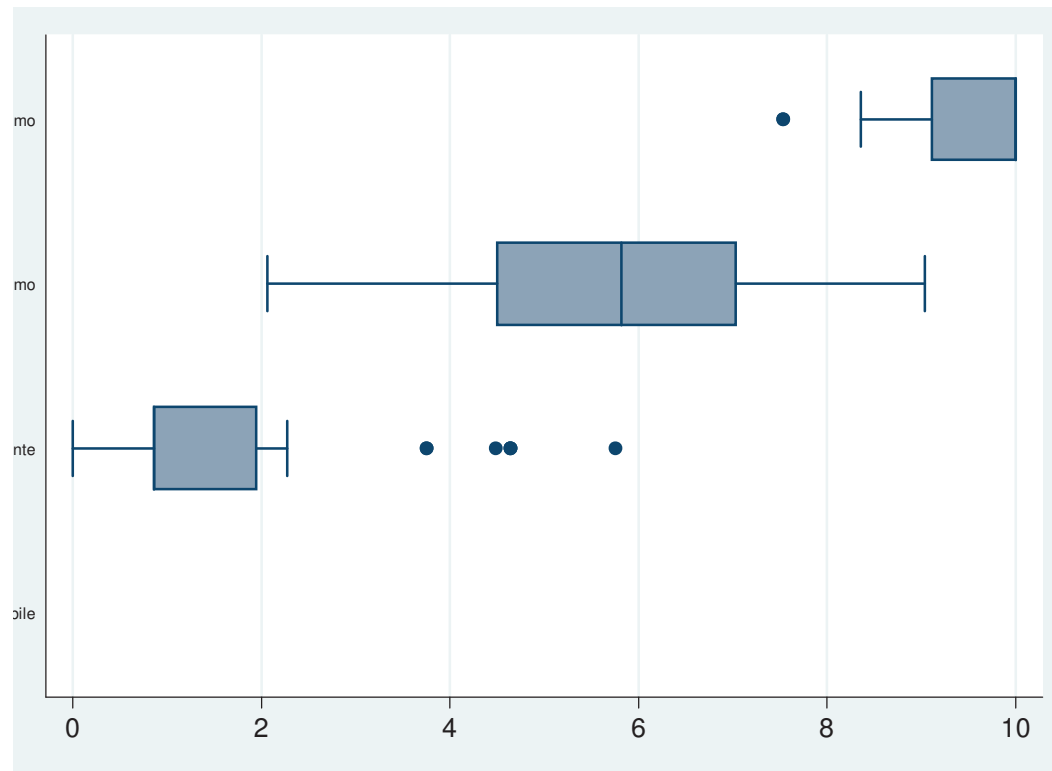


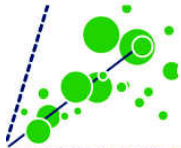


h-score e gestione quotidiano

Distribuzione dell'indice nei sottogruppi per livello di gestione della vita di ogni giorno

| Attività di gestione della vita di ogni giorno | med(outcome1) | iqr(outcome1) | mean(outcome1) | sd(outcome1) |
|--|---------------|---------------|----------------|--------------|
| Autonomo | 10 | .8879937 | 9.5465074 | .7703258 |
| Parzialmente autonomo | 5.8157527 | 2.530381 | 5.6315547 | 1.983369 |
| Totalmente dipendente | .86145564 | 1.082689 | 1.6657807 | 1.594655 |
| Eta'<1 anno, non rilevabile | | | | |





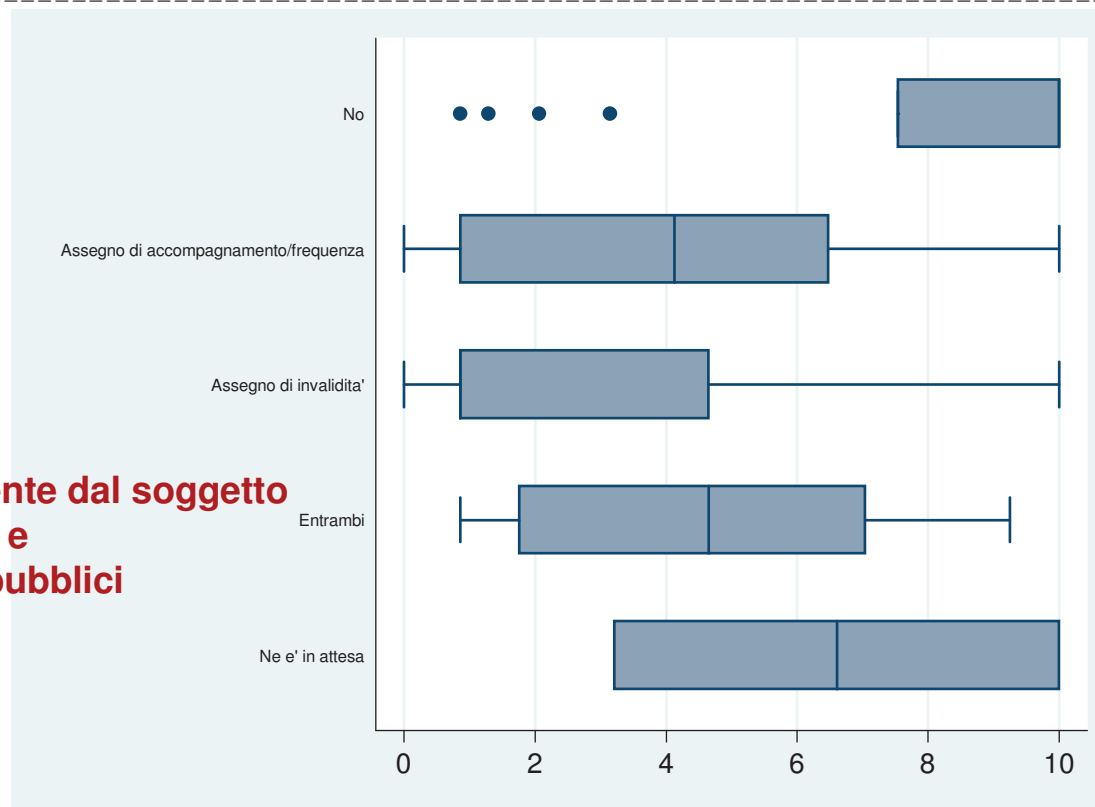
h-score e assegno

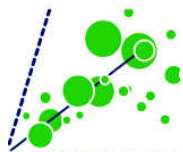
Distribuzione dell'indice nei sottogruppi per diritto di assegno

| Diritto di assegno | med(outcome1) | iqr(outcome1) | mean(outcome1) | sd(outcome1) |
|--------------------------------------|---------------|---------------|----------------|--------------|
| No | 10 | 2.464741 | 8.080137 | 3.228503 |
| Assegno di accompagnamento/frequenza | 4.126978 | 5.614507 | 4.1552703 | 3.242102 |
| Assegno di invalidita' | .86145564 | 3.781598 | 2.7193718 | 3.386163 |
| Entrambi | 4.6430536 | 5.279828 | 4.628386 | 2.824858 |
| Ne e' in attesa | 6.6036495 | 6.792701 | 6.6036495 | 4.803165 |



**Variabile non dipendente dal soggetto
ma anche dai genitori e
dagli amministratori pubblici**





Legame fra stato attuale ed età inizio terapia

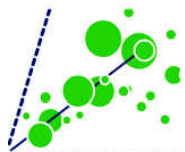
2. Legame fra stato attuale del ragazzo ed età di inizio della terapia

| Eta' inizio terapia | mean(outcome1) | sd(outcome1) | med(outcome1) | iqr(outcome1) |
|---------------------|----------------|--------------|---------------|---------------|
| < 3 | 8.7150008 | 2.097066 | 10 | 1.747747 |
| 4-7 | 4.7166977 | 3.730939 | 3.767548 | 6.395737 |
| 8-12 | 3.7902919 | 3.394132 | 3.128672 | 4.939001 |
| > 12 | 3.8032113 | 3.263525 | 3.207299 | 6.058323 |

Median test

| Greater than the median | Eta' inizio terapia | | | | Total |
|-------------------------|---------------------|-----|------|------|-------|
| | < 3 | 4-7 | 8-12 | > 12 | |
| no | 2 | 3 | 8 | 28 | 41 |
| yes | 18 | 3 | 4 | 13 | 38 |
| Total | 20 | 6 | 12 | 41 | 79 |

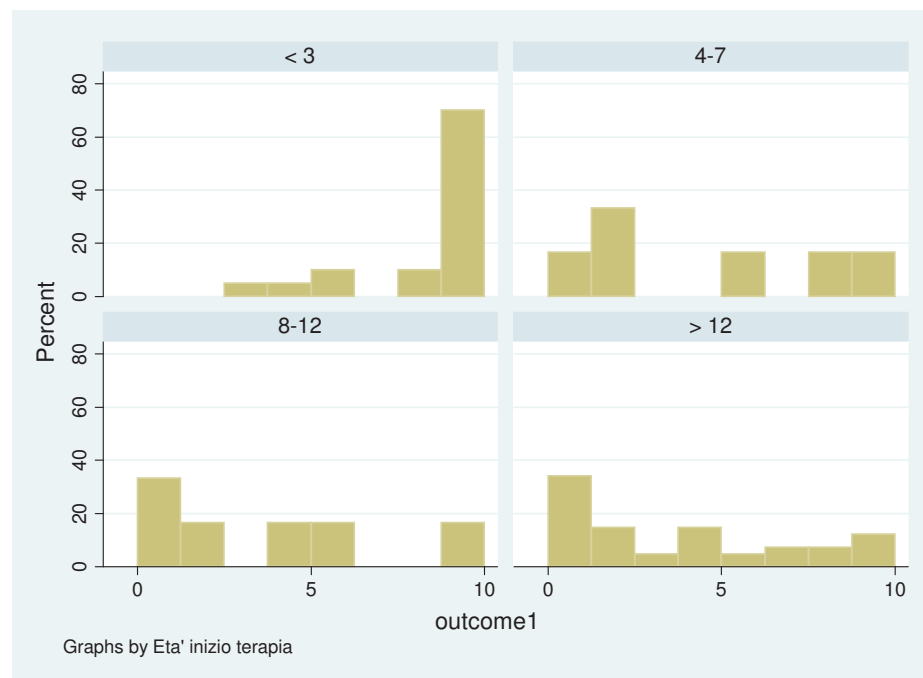
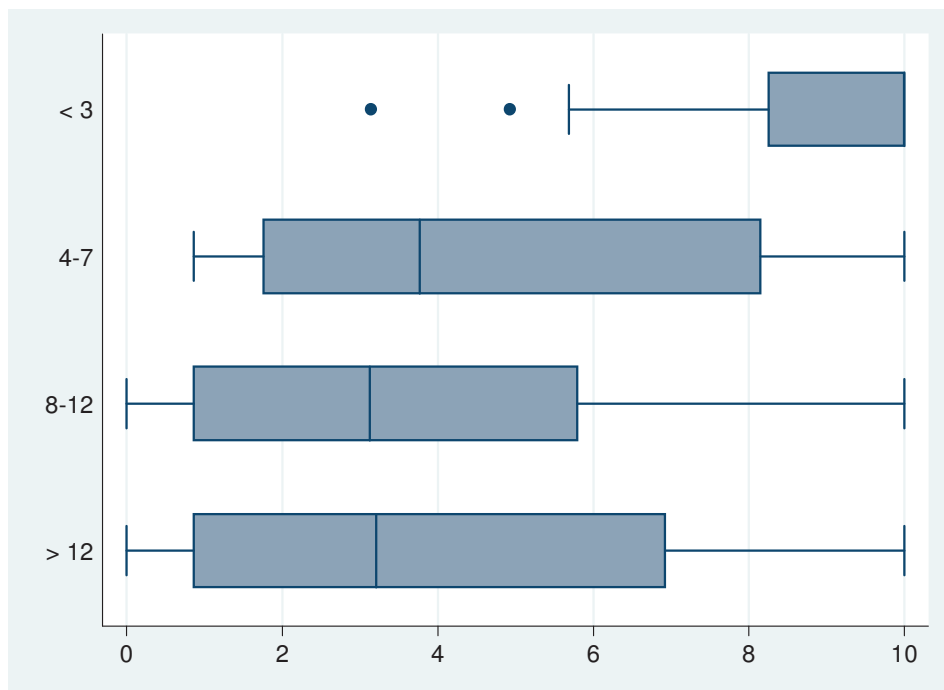
Pearson chi2(3) = 19.5354 Pr = 0.000

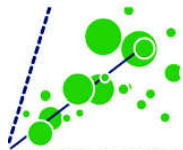


Legame fra stato attuale ed età inizio terapia

EIDOS INFOSTAT

Indagini Statistiche
Consulenza Aziendale





Legame fra stato attuale ed età inizio terapia

EIDOS INFOSTAT

Indagini Statistiche
Consulenza Aziendale

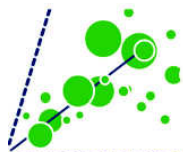
Alcune considerazioni:

- **Esistono in media e mediana differenze marcate e statisticamente significative fra i soggetti che iniziano il trattamento entro i 3 mesi e quelli che invece lo iniziano in tempi successivi.**
- Ma anche per coloro che iniziano dopo i 3 mesi, la gamma dei risultati è molto ampia e va da risultati modesti a risultati con punteggio massimo.
- Non è quindi da scartare a priori il trattamento anche per coloro che non lo hanno potuto iniziare prima dei 3 mesi.
- Questo aspetto andrebbe comunque approfondito con ulteriori dati ed analisi.

La prima **obiezione** che si potrebbe muovere a questo **importante risultato** è che **non si è considerata** la *baseline* del paziente, cioè le condizioni del bambino al momento di inizio della terapia.

È quindi ora necessario verificare se fra gli individui trattati prima o dopo i tre mesi (cioè dove i punteggi risultati più marcati ed evidenti) non ci sono differenze significative nelle condizioni di salute al momento di inizio della terapia (o al momento del parto).

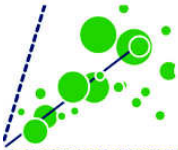
I migliori risultati potrebbero essere legati infatti **non all'efficacia della terapia** ma **ad una maggiore percentuale di soggetti in buone condizioni nel sottogruppo di quelli trattati prima dei 3 mesi.**



Modellizzazione del h-score

Tab. 1 - Caratteristiche del parto nei sottogruppi dei soggetti trattati prima e dopo i 3 mesi di vita.

| | Avvio terapia prima dei 3 mesi | | Test esatto di Fisher |
|---|--------------------------------|---------------|-----------------------|
| | No | Si | p-value |
| Totali | 68 | 28 | |
| Parto gemellare | 9 (13.2%) | 0 (0.0%) | 0.055 |
| Peso alla nascita < 2500g | 30 (44.1%) | 7 (25.0%) | 0.019 |
| Madre diabetica | 2 (2.9%) | 0 (0.0%) | 1.000 |
| Madre con gestosi | 5 (7.4%) | 3 (10.7%) | 0.688 |
| Parto distocico | 25 (36.8%) | 13 (46.4%) | 0.491 |
| Indice di Apgar basso | 17 (25.0%) | 5 (17.9%) | 0.595 |
| Crisi convulsive | 8 (11.8%) | 3 (10.7%) | 1.000 |
| Ittero neonatale grave | 14 (20.6%) | 3 (10.7%) | 0.379 |
| Crisi ipocalcemiche o ipoglicemiche | 2 (2.9%) | 1 (3.6%) | 1.000 |
| Infezioni alla nascita | 9 (13.2%) | 2 (7.1%) | 0.500 |
| Presenza di sindrome o patologia | 14 (20.6%) | 10 (35.7%) | 0.129 |
| Presenza di sindrome Down | 2 (2.9%) | 6 (21.4%) | 0.007 |
| Durata gestazione <38 settimane | 30 (44.1%) | 9 (32.1%) | 0.020 |
| Appartiene ad almeno una delle categorie di parti a rischio | 61 (89.7%) | 22 (78.6%) | 0.190 |



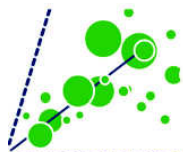
Modellizzazione del h-score

Dobbiamo a questo punto valutare il differente punteggio rilevato fra soggetti sottoposti a terapia prima e dopo i 3 mesi, **al netto** dell'effetto dovuto alla differente **baseline** del soggetto, cioè alle differenti condizioni al momento del parto.

In questo modo potremo arrivare a fornire un **giudizio statisticamente corretto** della rilevanza del risultato osservato.

Per fare questo, provvediamo a stimare per la variabile (dipendente) punteggio un **modello di regressione per il valore medio** (regressione classica) e **per quello mediano** (regressione sui quantili), in cui le variabili esplicative usate sono:

la variabile binaria trattamento dopo o prima dei 3 mesi;
le caratteristiche del parto (parto gemellare, peso < 1500g, etc.)



Modelli di regressione

Regressione classica

| Source | SS | df | MS | Number of obs = 79 | | |
|----------|------------|----|------------|--------------------|--------|--|
| Model | 416.7115 | 3 | 138.903833 | F(3, 75) = | 17.13 | |
| Residual | 608.121245 | 75 | 8.10828327 | Prob > F = | 0.0000 | |
| | | | | R-squared = | 0.4066 | |
| | | | | Adj R-squared = | 0.3829 | |
| Total | 1024.83275 | 78 | 13.1388813 | Root MSE = | 2.8475 | |

| outcome1 | Coef. | Std. Err. | t | P> t | [95% Conf. Interval] | |
|-----------|-----------|-----------|-------|-------|----------------------|-----------|
| terapia3 | 5.128324 | .7531976 | 6.81 | 0.000 | 3.627877 | 6.628771 |
| durata30 | 2.095331 | .8488931 | 2.47 | 0.016 | .404249 | 3.786413 |
| a_rischio | -2.062448 | .9803007 | -2.10 | 0.039 | -4.015308 | -.1095892 |
| _cons | 5.242191 | .9283781 | 5.65 | 0.000 | 3.392767 | 7.091615 |

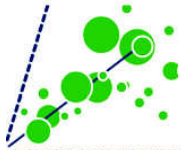
Regressione sulla mediana

| Median regression | Number of obs = 79 | |
|---|--------------------|--------|
| Raw sum of deviations 254.5249 (about 4.975728) | Pseudo R2 = | 0.3557 |
| Min sum of deviations 163.9925 | | |

| outcome1 | Coef. | Std. Err. | t | P> t | [95% Conf. Interval] | |
|-----------|-----------|-----------|--------|-------|----------------------|-----------|
| terapia3 | 7.482832 | .0402143 | 186.07 | 0.000 | 7.402647 | 7.563016 |
| gemellare | -.6790005 | .062075 | -10.94 | 0.000 | -.8027746 | -.5552265 |
| peso2500 | -.9668266 | .0455412 | -21.23 | 0.000 | -1.057633 | -.87602 |
| crisi_ipo | -1.645827 | .0912722 | -18.03 | 0.000 | -1.827819 | -1.463836 |
| infezioni | 2.072793 | .063004 | 32.90 | 0.000 | 1.947167 | 2.198419 |
| sdown | -3.296084 | .0789488 | -41.75 | 0.000 | -3.453503 | -3.138664 |
| durata30 | 3.03962 | .0566793 | 53.63 | 0.000 | 2.926604 | 3.152635 |
| _cons | 2.517169 | .0316161 | 79.62 | 0.000 | 2.454128 | 2.580209 |

Quindi la media dei punteggi (che variano fra tra 0 e 10) del gruppo dei soggetti trattati prima dei 3 mesi risulta essere superiore a quella del restante gruppo di un ammontare pari a 5.1 (95% CI 3.6 – 6.7), al netto dell'effetto dovuto alle differenti condizioni al momento del parto.

Analogamente la **mediana** dei punteggi del gruppo dei soggetti trattati prima dei 3 mesi risulta essere superiore a quella del restante gruppo di un ammontare pari a **7.5** (95% CI 7.2 – 7.9), **al netto dell'effetto dovuto alle differenti condizioni al momento del parto.**



Conclusioni

Con i dati a nostra disposizione non è possibile valutare l'efficacia della terapia studiata in confronto con le altre terapie.

Sulla base dei dati analizzati è possibile però trarre importanti conclusioni sull'efficacia della terapia proposta, specialmente se iniziata prima dei tre mesi di vita.

I risultati mostrano, infatti, in modo chiaro, l'esistenza di una differenza clinicamente e statisticamente significativa tra coloro che iniziano la terapia prima ovvero dopo i tre mesi di vita.

Questo fa propendere per un sistematico avvio del trattamento prima dei 3 mesi di vita.