PROMiNET

Pasientrapporterte utfallsmål
PROM

Forskerinitierte kliniske studier - fra idé til publikasjon
26.11.2026



Kenth Louis Hansen Joseph, PhD
Forsker/prosjektkoordinator
PROM*i*NET, OUS Regional forskningsstøtte
Forskningsgruppeleder PRO HEALTHCARE

Hva er pasientrapporterte utfallsmål?

- **PROM**, eng. patient-reported outcome measure
- Rapportering om helsetilstand **direkte fra pasienten uten tolkning fra kliniker eller andre**
- Eksempler
  - Helserelatert livskvalitet, symptomer og mestring
- Metode
  - Spørreskjemaer eller intervju

Skal **PROM** inkluderes i studien?

- Avhengig av forskningsspørsmålet
  - Hvis man ønsker å vite hvordan pasienten(e) har det
  - Klinisk relevant endepunkt

- Spesielt viktig ved
  - Effektstudier med lik overlevelse/ grad av sykelighet
  - Evaluering/utvikling av palliativ behandling/tiltak
  - Kroniske sykdommer
  - Eldre pasienter
  - Bivirkninger og seneffekter

Skal **PROM** inkluderes i studien?

Ikke i alle studier

- Vil PROM data endre klinisk praksis?
- Krever god infrastruktur
- Krever ekstra ressurser
- Krever interesse fra ansvarlige personer

Farer

- Har med PROM fordi politisk korrekt/ høres riktig ut
- Hvis bare 30 % svarer kan ikke resultatene brukes
- Uetisk

Skal **PROM** inkluderes i studien?

Hvis ja, må gjøres på en vitenskapelig ordentlig måte

Hvis PROM skal endre klinisk praksis må vi stole på resultatene

Sentrale PROM ressurser

Hensikt	Ressurs
Protokoll med PRO *Calvert M, JAMA 2018*	Standard Protocol Items: Recommendations for Interventional Trials-PRO Extension (SPIRIT-PRO)
Valg av PROM *Reeve B, QualRes 2013*	ISOQOL Minimum Standards for PRO Measures in Patient-Centered and Comparative Effectiveness Research
Analyse av PROM *Coens C, Lancet Onc 2020*	Setting International Standards in Analyzing Patient-Reported Outcomes and Quality of Life Endpoints Data (SISAQOL) Consortium
Rapportering av PRO data *Calvert M, JAMA, 2013*	Consolidated Standards of Reporting Trials-PRO Extension (CONSORT-PRO)
Tolkning av artikler med PRO *Wu A, 2014*	Clinicians Checklist for Reading and Using an Article about PROs
Analyse, tolkning og presentasjon av PRO data *Pe M 2023, Amdal C, 2025*	«Setting International Standards in Analysing Patient-Reported Outcomes and Quality of Life endpoints – Innovative Medicines Initiative» (SISAQOL-IMI) final recommendations for design, analysis, interpretation and presenting patient-reported outcomes in cancer clinical trials.

Skal **PROM** inkluderes i studien?

Følg retningslinjer når du skriver protokoll

JAMA | Special Communication

Guidelines for Inclusion of Patient-Reported Outcomes in Clinical Trial Protocols
The SPIRIT-PRO Extension

Melanie Calvert, PhD; Derek Kyte, PhD; Rebecca Mercieca-Bebber, PhD; Anita Slade, PhD; An-Wen Chan, MD, DPhil; Madeleine T. King, PhD; and the SPIRIT-PRO Group

SPIRIT-PRO	Inklusjon av PROM i protokoll
Roller og ansvar personell	Gi **navn og rolle til den som er ansvarlig for PRO** og til studiepersonell ansvarlig for innhenting av data
Bakgrunn/rasjonale	Beskriv PRO-spesifikt forskningsspørsmål, rasjonale for PROM og eksisterende PROM viten på feltet
Mål/delmål	PRO spesifikt mål og delmål Inkludert spesifikke PRO konsept/ domener
Inklusjonskriterier	PRO spesifikke kriterier? f.eks språk, evne til å forstå og svare på spørreskjemaer, leseevne, evt krav om utfylt spørreskjema før randomisering
Endepunkt	Angi domene, symptom, skala som er hovedmål og på hvilket tidspunkt : endring fra start til 3 mnd. etter, livskvalitet ved 5 år…
Flytskjema	Gi oversikt og begrunnelse for valg av PROM måletidspunkter Tidsvinduer? Bestemt rekkefølge på undersøkelser, skjemaer?
Styrkeberegning	PROM primært endepunkt – som for andre endepunkt I tillegg til statistisk signifikans må ha forhold til klinisk signifikans Hvilken forskjell/ endring oppleves som meningsfylt? Forventet antall som ønsker å være med , forventet drop-out

SPIRIT-PRO	Inklusjon av PROM i protokoll
Data innsamling Valg av spørreskjema	Begrunn valg av spørreskjema, må være egnet til å svare på forskningsspørsmålet beskriv domener, antall spørsmål/ skalaer og skåring. Er det validert for gruppen? Gi referanser. Beskriv evt skåringsverktøy, retningslinjer for bruk av skjema. Referanser. Beskriv avveininger pasientbyrde, antall utfyllinger osv
PROM administrasjon innhenting	Hvordan: papir, elektronisk, telefon Hvor: hjemme, poliklinikken, andre
	Hvilke(t) språk skal brukes, er det validert på språket? Hvis ikke hvordan skal dette håndteres? Oversettes og valideres på vitenskapelig godkjent måte
Bruk av Proxy	Har andre lov å svare for pasienten? Hvem?
Sikkerhetsprosedyrer	Hvordan håndteres missing data? Manglende oppmøte, rare svar? Forkaste skjema? purreprosedyrer, inputtering

SISAQOL-IMI Setting International Standards in Analysing Patient-Reported Outcomes and Quality of Life endpoints – Innovative Medicines Initiative

SISAQOL™
Setting International Standards in Analysing Patient-Reported Outcomes and Quality of Life Endpoints

- Bakgrunn

- Mange retningslinjer, må samles i en felles standard
- Behov for konsensus blant sentrale "stakeholders"

- Etablert i 2021

- 41 organisasjoner
- 185 medlemmer fra 15 land
- bl.a. akademia, industrien, regulatoriske myndigheter (**FDA og EMA**), pasientrepresentanter…

- Oppdrag

- Recommendations for design, analysis, interpretation and presenting PROs in cancer clinical trials

- 2025, publisert og tilgjengelig: Homepage - SISAQOL



THE LANCET Oncology

Policy Review

SISAQOL-IMI consensus-based guidelines to design, analyse, interpret, and present patient-reported outcomes in cancer clinical trials

Cecilie D Arndal, Ragnhild S Falk, Ahu Alanya, Michael Schlichting, Satrajit Roychoudhury, Vishal Bhatnagar, Lisa M Wintner, Antoine Regnault, Anders Ingelgård, Corneel Coens, Saskia le Cessie, Bernhard Holzner, Jane Chang, Martin Taphoorn, Paul Cislo, Johannes M Giesinger, Joseph C Cappelleri, Vivek Pawar, Sílene ten Seldam, Elektra J Papadopoulos, Melanie J Calvert, Kenth L Joseph, Andrew Bottomley, Ingolf Griebsch, Juan I Arraras, Guro L Astrup, Ethan Basch, Andrej Belančič, Michael Brundage, Alicyn Campbell, Khadija Rerhaa Rantell, Kim Cocks, Nathan Cherny, Sonya Eremenco, Montse Ferrer, Mallorie H Fiero, Christoph Gerlinger, Els Goetghebeur, Ulrich Grouven, Alexandra Lauer, Olalekan Lee Aiyegbusi, Abigirl Machingura, Junki Mizusawa, Geert Molenberghs, Morten Aa Petersen, Jaap C Reijneveld, Jolie Ringash, Gerhard Rumpold, Claudia Rutherford, Chantal Quinten, Kavita Sail, Maxime Sasseville, Willi Sauerbrei, Anja Schiel, Ashley W Smith, Claire Snyder, Galina Velikova, Xin S Wang, Kristin Bjordal*, Madeline Pe*, on behalf of the SISAQOL-IMI Consortium†

Standardising the implementation of patient-reported outcomes (PROs) in clinical trials is crucial for evaluating the benefits and risks of cancer treatments. The Setting International Standards in Analysing Patient-Reported Outcomes and Quality of Life Endpoints in Cancer Clinical Trials-Innovative Medicines Initiative (SISAQOL-IMI) has developed 146 consensus-based recommendations for designing, analysing, interpreting, and presenting PROs in cancer clinical trials. This initiative, undertaken from 2021 to 2025, involved experts, including statisticians, PRO measurement experts, clinicians, and patient representatives from 41 organisations representing regulatory agencies, academia, the pharmaceutical industry, health–technology assessment bodies, and patient advocates. SISAQOL-IMI provides guidance on the implementation of PROs in randomised controlled trials and single-arm trials, terminology, definitions and the selection of PRO score interpretation thresholds, and for visualising PRO results for different audiences. To facilitate the implementation of these standards, in addition to this Policy Review, four key outputs are available: an interactive table, a guidebook, plain language materials, and a glossary.

Lancet Oncol 2025; 26: e683–93

*Joint last authors
†The SISAQOL-IMI members are listed in the appendix (pp 10–11)
Oslo University Hospital, Oslo, Norway (C D Arndal MD PhD, R S Falk PhD, K L Joseph PhD, G L Astrup PhD, Prof K Bjordal MD PhD); Quality of Life Department, European Organisation for Research and Treatment of Cancer Headquarters, Brussels, Belgium (A Alanya PhD, C Coens MSc, A Bottomley PhD, A Machingura MSc, M Pe PhD); Merck, Healthcare KGaA, Darmstadt, Germany (M Schlichting MSc); Pfizer, New York, NY, USA (S Roychoudhury PhD, J Chang MPH, P Cislo PhD, J C Cappelleri PhD); US Food and Drug Administration, Silver Spring, MD, USA (V Bhatnagar MD, M Fiero PhD); University Hospital of Psychiatry II, Medical University of Innsbruck, Innsbruck, Austria (L M Wintner PhD, Prof B Holzner PhD, Prof J M Giesinger PhD); Modus Outcomes, Lyon, France (A Regnault PhD); Boehringer Ingelheim, Ingelheim am Rhein, Germany (A Ingelgård PhD, I Griebsch, A Lauer PhD); Department of Clinical Epidemiology (Prof S Le Cessie PhD), Department of Neurology (Prof M Taphoorn MD PhD), Leiden University Medical Center, Leiden, Netherlands; EMD Serono, Billerica, MA, USA (V Pawar PhD); Myeloma Patients Europe, Brussels, Belgium (S ten Seldam MSc); AbbVie, Mettawa, IL, USA (E J Papadopoulos MD MPH,

Introduction

Health-related quality of life and other patient-reported outcomes (PROs) are recognised as important for evaluating the benefits and risks of cancer treatments. These outcomes are important to a broad range of stakeholders, including clinicians, academics,[1–4] patient advocates,[1] drug developers, international regulatory agencies, and health technology assessment (HTA) bodies.[5–8] Although guidelines exist on how to include PROs in protocols,[9] how to report them in trial publications,[10] and how to create graphical presentations,[11] these guidelines do not provide information on agreed methodological standards for the design, analysis, interpretation, and reporting of PRO data that would be acceptable for various decision makers. Previous reviews have consistently shown that vague PRO research objectives, poorly defined PRO endpoints (including unclear definitions of clinically meaningful change or difference), and a lack of transparency in the reporting of PRO findings have raised concerns about the reliability of such studies.[12] This lack of consistency in PRO reporting could affect the comparative evaluation of cancer clinical trials and hinder the optimal use of PRO data in the decision making of various stakeholders. A common framework is essential across different clinical trial environments (eg, academic and industry-sponsored trials) to ensure that trials generate high-quality PRO data that meet the needs of various stakeholders and for less experienced researchers to access a best-case methodology. To establish consensus recommendations, it was necessary to bring together different stakeholders to develop guidelines that accomplish these needs.

Expanding the Setting International Standards in Analysing Patient-Reported Outcomes and Quality of Life Endpoints in Cancer Clinical Trials (SISAQOL) work[13] into the SISAQOL-Innovative Medicines Initiative (SISAQOL-IMI) was a logical step forward. SISAQOL-IMI aimed to consider various stakeholder needs and adopt recent developments in the methodological literature (eg, the estimands framework from the International Council for Harmonisation [ICH] E9 [R1], which offers guidance on statistical principles for clinical trials aiming for pharmaceutical product registration).[11,14] SISAQOL-IMI involved expert statisticians and other PRO measurement experts to develop practical tools that support the implementation of these the recommendations.[15] The goal of the SISAQOL-IMI was to establish consensus-based guidelines for designing, analysing, interpreting, and presenting PROs in cancer clinical trials.

Four key scientific priority areas were identified, the first being randomised controlled trials (RCTs), where PROs can be used to evaluate the clinical benefit of an intervention or describe the patient perspective, for instance, to complement clinician-reported adverse event data. The second priority is single-arm trials (SATs), where PROs often are used to describe the patient perspective; for example, to support generation of future PRO related hypotheses in an RCT setting or to complement clinician-reported adverse events. In

SISAQOL retningslinjer

for analyse, tolkning og presentasjon av PRO data

SISAQOL™
Setting International Standards in Analysing Patient-Reported Outcomes and Quality of Life Endpoints



146 anbefalinger sortert i **tabellen**

Randomised controlled trial

Single arm trial ↗

	Confirmatory Objective: Evaluate clinical benefit		Descriptive Objective: Describe patient perspective
	Superiority	Equivalence / Non-inferiority	
Magnitude of PRO (change) score at time t	Recommendations →	Recommendations →	Recommendations →
Responder with PRO improvement at time t	Recommendations →	Recommendations →	Recommendations →
Responder with PRO worsening at time t	Recommendations →	Recommendations →	Recommendations →
Time to PRO improvement	Recommendations →	Recommendations →	Recommendations →
Time to PRO worsening	Recommendations →	Recommendations →	Recommendations →
Overall mean or median PRO scores over a specified time frame	Recommendations →	Recommendations →	Recommendations →

Vanskelig?

Ønsker du mer kunnskap?

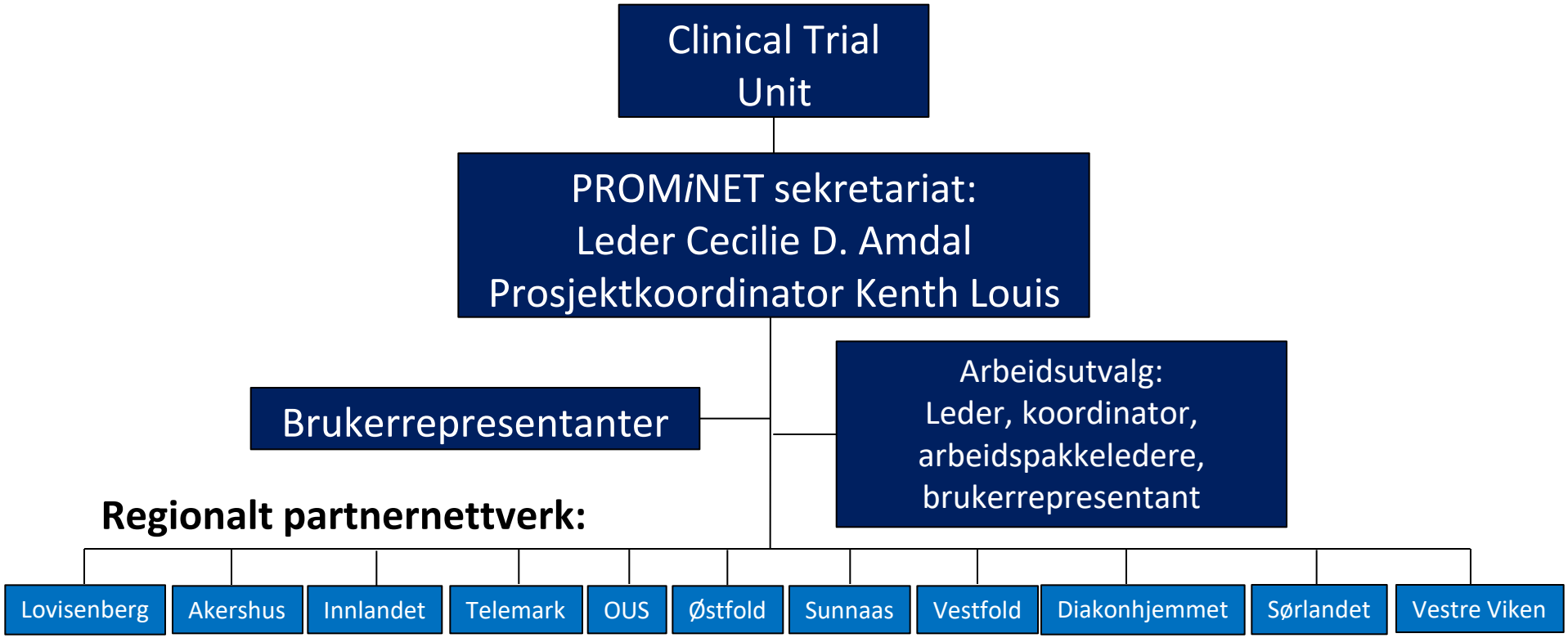
BRUK PROM*i*NET

www.prominet.no

prominet@ous-hf.no

PROM*i*NET A regional infrastructure for Patient Reported Outcome Measures (PROM) in Clinical Research

Oppdrag: Å øke **bruken av og kvaliteten** på pasient-rapporterte utfallsmålinger i kliniske forskning og i klinisk praksis



www.prominet.no

prominet@ous-hf.no

OSLO UNIVERSITETSSYKEHUS

HELSE SØR-ØST

Hvordan bruke PROM*i*NET?













www.prominet.no

prominet@ous-hf.no

Forskningsseminar og kurs

PROM i klinisk forskning

22. januar 2026

Introkurs + fordypningskurs

Bruk av PRO endepunkter i kliniske studier

Våren 2026

Søkt om totalt 5 phd studiepoeng ved UiO

OSLO UNIVERSITETSSYKEHUS



Den 13. årlige konferansen om

PROM i klinisk forskning

arrangert av
Forskningsgruppe for PROM og helsekompetanse & PROMiNET

Scann for mer info og påmelding

22. januar 2027 • kl. 9.00-15.00

Auditorium Forskningsbygget Radiumhospitalet
Deltageravgift kr.700 • Påmeldingsfrist 4. januar 2027

09.00-09.15	**Velkommen**	Tone K Vidnes & Cecilie D Amdal, OUS
09.15-10.00	**Livskvalitetsforskning i helsefeltet – et historisk tilbakeblikk og refleksjoner om fremtiden**	Astrid K. Wahl, UiO Sølvi Helseth OsloMet *Keynote speakers*
10.00-10.15	Pause	
10.15-10.35	**Oversettelse av PROMIS Item Banks – historikk og status**	Stein Arne Rimehaug Sunnaas sykehus
10:35-10:55	**Bruk av PROM (PROMIS) i pakkeforløp - behovsavklaring og oppfølging**	Ole-Jacob Anderssen Norum, OUS
10.55-11.25	**PROM i klinisk virksomhet og oppfølging i nyrepoliklinikken**	Morten Søge Bækken, OUS
11.25-12.30	Lunsj	
12.30-13.00	**PROM, PREM og brukermedvirkning i rehabiliteringsforskning**	Anne-Lene Sand-Svartrud Diakonhjemmet, REMEDY
13:00-13:30	**Bruk av PROMs i helseøkonomiske analyser**	Torbjørn Wisløff, UiO, Ahus
13.30-13.45	Pause	
13.45-14.15	**Bruk av KI til analyse av pasient rapporter – PREM som eksempel**	Anders Strand Vestbø Haukeland Universitetssykehus
14.15-14.30	**Oversikt over aktuelle digitale plattformer - for klinisk forskning og praksis**	Anne Therese Tveter Diakonhjemmet, REMEDY
14.30-14.55	**PROM i Ledidi, Ny funksjonalitet**	Victoria L Bringsjord LEDIDI
14.55-15.00	**Oppsummering og avslutning**	Cecilie D Amdal og Tone K Vidnes, OUS

✓ **PROM (Patient Reported Outcome Measures)**
✓ Med forbehold om endringer i programmet
✓ Arrangementskomite: Tone K Vidnes, Cecilie D Amdal, Stein Arne Rimehaug, Martine H Andresen, Anne Therese Tveter og Kenth Louis Joseph

OSLO UNIVERSITETSSYKEHUS

Scann for påmelding

Den 13. årlige konferansen om

PROM i klinisk forskning

arrangert av
Forskningsgruppe for PROM og helsekompetanse & PROMiNET

Scann for mer info og påmelding

22. januar 2027 • kl. 9.00-15.00

Auditorium Forskningsbygget Radiumhospitalet
Deltageravgift kr.700 • Påmeldingsfrist 4. januar 2027

09.00-09.15	**Velkommen**	Tone K Vidnes & Cecilie D Amdal, OUS
09.15-10.00	**Livskvalitetsforskning i helsefeltet – et historisk tilbakeblikk og refleksjoner om fremtiden**	Astrid K. Wahl, UiO Sølvi Helseth OsloMet *Keynote speakers*
10.00-10.15	Pause	
10.15-10.35	**Oversettelse av PROMIS Item Banks – historikk og status**	Stein Arne Rimehaug Sunnaas sykehus
10:35-10:55	**Bruk av PROM (PROMIS) i pakkeforløp - behovsavklaring og oppfølging**	Ole-Jacob Anderssen Norum, OUS
10.55-11.25	**PROM i klinisk virksomhet og oppfølging i nyrepoliklinikken**	Morten Søge Bækken, OUS
11.25-12.30	Lunsj	
12.30-13.00	**PROM, PREM og brukermedvirkning i rehabiliteringsforskning**	Anne-Lene Sand-Svartrud Diakonhjemmet, REMEDY
13:00-13:30	**Bruk av PROMs i helseøkonomiske analyser**	Torbjørn Wisløff, UiO, Ahus
13.30-13.45	Pause	
13.45-14.15	**Bruk av KI til analyse av pasient rapporter – PREM som eksempel**	Anders Strand Vestbø Haukeland Universitetssykehus
14.15-14.30	**Oversikt over aktuelle digitale plattformer - for klinisk forskning og praksis**	Anne Therese Tveter Diakonhjemmet, REMEDY
14.30-14.55	**PROM i Ledidi, Ny funksjonalitet**	Victoria L Bringsjord LEDIDI
14.55-15.00	**Oppsummering og avslutning**	Cecilie D Amdal og Tone K Vidnes, OUS

✓ **PROM (Patient Reported Outcome Measures)**
✓ Med forbehold om endringer i programmet
✓ Arrangementskomite: Tone K Vidnes, Cecilie D Amdal, Stein Arne Rimehaug, Martine H Andresen, Anne Therese Tveter og Kenth Louis Joseph

OSLO UNIVERSITETSSYKEHUS