

ÉTUDES PILOTES : LES BONNES, LES MAUVAISES ET LES QUESTIONS QUI FONT MAL

Pilot studies : the good, the bad and the painful questions

Sylvie Cossette, RN, Ph.D.

Nancy Feeley, RN, Ph.D.

Tanya Mailhot, RN, Ph.D. (c)



INSTITUT DE
CARDIOLOGIE
DE MONTRÉAL

Université
de Montréal



Réseau
RRISQ
Network



McGill



Hôpital général juif
Jewish General Hospital

ÉTUDES PILOTES POUR LES RECHERCHES SUR LES INTERVENTIONS

- ▶ Peu d'indications
- ▶ Littérature scientifique en développement

CJMR 2009, Vol. 41 N.2, 84-99

Best Practices for Research

The Importance of Piloting an RCT Intervention

Nancy Feeley, Sylvie Cossette, José Côté, Marjolaine Héon, Robyn Stremier, Geraldine Martorella, and Margaret Purden

The pilot study provides a unique opportunity to identify and prepare for the challenges of evaluating an intervention. Ultimately, it will enhance the scientific rigour and value of the full-scale study. Although some journals publish reports of pilot studies, little attention has been given to the types of research questions and issues specific to these studies. This article focuses on the utility of a pilot randomized controlled trial (RCT) as a first step towards conducting an RCT. Three major objectives of a pilot RCT are discussed: assessing the feasibility and acceptability of the intervention, assessing the feasibility and acceptability of the design and procedures, and facilitating the determination of effect sizes for use in sample-size calculations.

Keywords: pilot studies, randomized controlled trials, methods, feasibility, acceptability



Réseau
RRISQ
Network

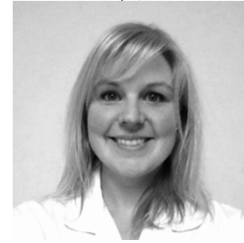
© Cossette, Feeley, Mailhot 2016

**Exemple 1**

CARDIOLOGIE

**Exemple 2**

NÉONATOLOGIE

**Exemple 3**

SOINS AIGUS

© Cossette, Feeley, Mailhot 2016

PROPOSITION DE DÉFINITIONS

► FAISABILITÉ

Est-ce que les éléments de l'intervention peuvent être mis en place par l'équipe de recherche?

**► ACCEPTABILITÉ**

Est-ce que l'intervention est appropriée et pertinente par les participants, les professionnels et les gestionnaires ?



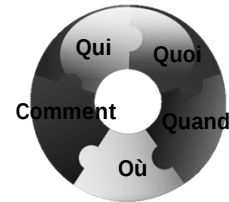
© Cossette, Feeley, Mailhot 2016

POUR S'Y RETROUVER...



INTERVENTION

CHAPITRE 17
TESTING THE WATERS
Piloting a complex intervention



DEVIS

CHAPITRE 13
PILOT STUDIES FOR RANDOMIZED
CONTROLLED TRIALS

- ▶ Une bonne question à se poser lors d'une étude pilote?
- ▶ Une question à se poser mais qu'on doit éviter de miser dessus?
- ▶ Une question qu'on peut se poser mais qui va faire mal...

Faisabilité

Acceptabilité

© Cossette, Feeley, Mailhot 2016

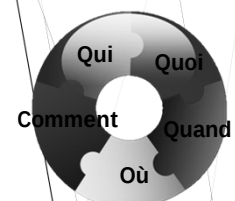
CE DONT NOUS PARLERONS

▪ INTERVENTION

- **Faisabilité** : Est-ce que les éléments de l'intervention peuvent être mis en place par l'équipe de recherche?
- **Acceptabilité** : Est-ce que l'intervention est appropriée et pertinente par les participants, les professionnels et les gestionnaires ?

▪ DEVIS

- **Faisabilité** : Est-ce que les éléments du devis peuvent être mis en place?
- **Acceptabilité** : Est-ce que l'engagement demandé par le devis de l'étude est acceptable pour les participants?



INTERVENTION

Faisabilité

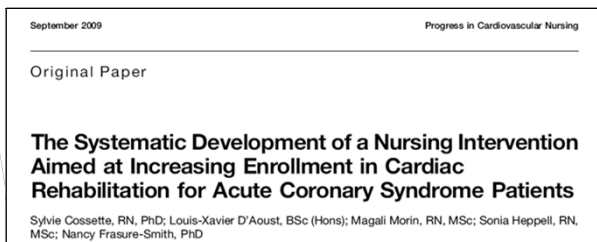
Acceptabilité

DEVIS

© Cossette, Feeley, Mailhot 2016

EXEMPLE 1 : PATIENTS CARDIAQUES

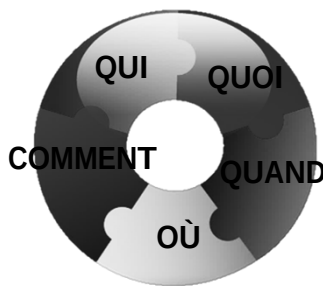
- ▶ Phase 1: Étude de besoin
- ▶ Phase 2: Étude pilote
- ▶ Phase 3: Essai clinique randomisé
 - ▶ But: augmenter l'entrée en prévention secondaire après un événement cardiaque
 - ▶ N: 242 patients et un aidant familial



© Cossette, Feeley, Mailhot 2016



EXEMPLE 1 — CARDIOLOGIE



FAISABILITÉ ET ACCEPTABILITÉ DE L'INTERVENTION

© Cossette, Feeley, Mailhot 2016

1. QUI : L'USAGER ET LE SOIGNANT

- ▶ Est-ce qu'on peut donner l'intervention à la clientèle cible?
- ▶ Cible: patients et membre de la famille
- ▶ Leçons apprises de phase 1:
 - ▶ Famille: critère d'inclusion exigeait participation d'un membre de la famille, pas faisable car famille non disponible
 - ▶ décision prise: famille encouragée mais pas obligatoire pour entrer dans l'étude



© Cossette, Feeley, Mailhot 2016

2. EST-CE QUE LE CONTENU DE L'INTERVENTION EST ACCEPTABLE?

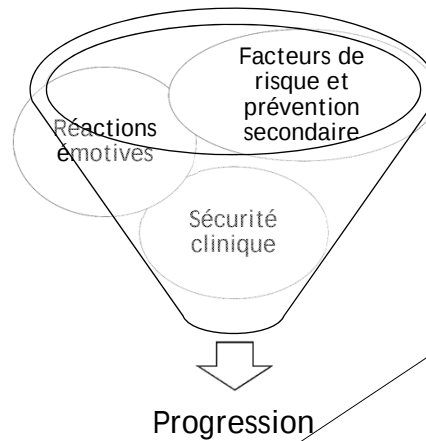
- ▶ Étude de besoins
 - ▶ Durée de séjour en moyenne de 3 jours, fatigue, stress, multiples examens, etc.
 - ▶ Préoccupés par leur état physique, les complications possibles, le retour à la maison
 - ▶ Peu réceptif aux interventions face aux facteurs de risque cardiaque, modification habitudes de vie, et entrée en prévention secondaire --- notre mesure de résultat principal



© Cossette, Feeley, Mailhot 2016

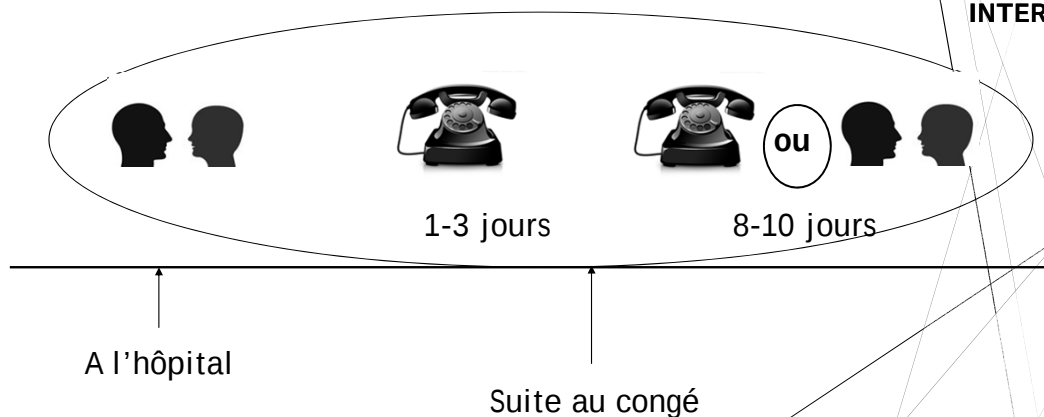
2. QUOI - CONTENU, SÉQUENCE, DOSAGE ET INDIVIDUALISATION

► Ce qu'on a décidé



© Cossette, Feeley, Mailhot 2016

3. COMMENT, L'ENDROIT ET COMMENT INDIVIDUALISER



© Cossette, Feeley, Mailhot 2016

RÉSULTATS

Wh

- Effets positifs et significatifs !!!
- Mais que peut on améliorer
- Médication était un sujet demandant

Prochaine étape : pilote d'un nouveau mode de prestation le « comment »

- **Comment : via le WEB**



© Cossette, Feeley, Mailhot 2016

DÉFIS RENCONTRÉS



Comment :
via le WEB



Qui « soignant »: Une infirmière virtuelle
Quoi: focus sur la médication: fidélité de l'intervention
Où : à domicile



Qui« usager »: Qui est au bout du fil? Pts, ou autre?
quand? Quand ils veulent? Oui mais initié par le patient, dépendant de son engagement

© Cossette, Feeley, Mailhot 2016

EXEMPLE 1 — CARDIOLOGIE

FAISABILITÉ ET ACCEPTABILITÉ DU DEVIS

© Cossette, Feeley, Mailhot 2016

DEVIS : FAISABILITÉ ET ACCEPTABILITÉ

Participants

Screening

Faisabilité

Quelle est la meilleure méthode pour trouver la population d'intérêt? (liste de RV, pts hospitalisés, journaux?)

Quel est le temps requis pour trouver les participants potentiels? Quel est le taux de recrutement parmi les participants sollicités?

Acceptabilité

Quel est le taux d'acceptation et les raisons de refus?

Est-ce que les professionnels sont d'accord pour participer à l'identification des participants potentiels?

© Cossette, Feeley, Mailhot 2016

DEVIS : FAISABILITÉ ET ACCEPTABILITÉ

Recrutement

Outcome

Faisabilité

Recrutement long en raison des critères d'inclusion et d'exclusion: distance entre ICM et patients en région

Quel est le meilleur temps pour mesurer le résultat principal?
Entrée en prévention secondaire: 6 semaines choisies pour augmenter faisabilité

Acceptabilité

Peu de refus

Acceptabilité (dans le consentement) que l'on utilise données de la RAMQ en plus des données du dossier local (taux de 90% acceptation)

© Cossette, Feeley, Mailhot 2016



Exemple 2

NÉONATALOGIE

© Cossette, Feeley, Mailhot 2016

EXAMPLE 2 : MOTHERS NICU

Correlational longitudinal study showed early mother anxiety related to later interaction

- **Phase 1:** Review of evidence on RX interaction and anxiety
- **Phase 2:** Pretest- post test pilot
- **Phase 3:** Multisite RCT
- Two goals (based on empirical evidence of what effects child development):
 - Optimize mother-infant interaction
 - Reduce maternal anxiety

The Evidence Base for the Cues Program for Mothers of Very Low Birth Weight Infants: An Innovative Approach to Reduce Anxiety and Support Sensitive Interaction

Nancy Feeley, RN, PhD
Phyllis Zelkowitz, EdD
Rita Westreich, MA
David Dunkley, PhD

Assessing the Feasibility and Acceptability of an Intervention to Reduce Anxiety and Enhance Sensitivity Among Mothers of Very Low Birth-Weight Infants

Nancy Feeley, RN, PhD,^{1,2,3} Phyllis Zelkowitz, EdD,^{1,2} Lyne Charbonneau, RN, BSc(N),^{1,3}
Carole Cormier, RN, MEd, PNC(C),^{3,4} Annie Lacroix, RN, MN,^{3,5} Chantal Ste Marie, PhD,¹
Apostolos Papageorgiou, MD^{1,2}

Follow-Up of the Cues and Care Trial

Mother and Infant Outcomes at 6 Months

Nancy Feeley
McGill University, Montreal, Quebec, Canada
Jewish General Hospital, Montreal, Quebec, Canada
Phyllis Zelkowitz
McGill University, Montreal, Quebec, Canada
Jewish General Hospital, Montreal, Quebec, Canada
Ian Shrier
Jewish General Hospital, Montreal, Quebec, Canada
McGill University, Montreal, Quebec, Canada
Robyn Stremler
University of Toronto, Ontario, Canada
Rita Westreich
David Dunkley
Jewish General Hospital, Montreal, Quebec, Canada
McGill University, Montreal, Quebec, Canada
Russell Steele
McGill University, Montreal, Quebec, Canada
Zoev Rosenberg
Jewish General Hospital, Montreal, Quebec, Canada
McGill University, Montreal, Quebec, Canada
Francine Lefebvre
Hopital Ste-Justine, Montreal, Quebec, Canada
Apostolos Papageorgiou
Jewish General Hospital, Montreal, Quebec, Canada
McGill University, Montreal, Quebec, Canada

Journal of Early Intervention
Volume 34 Number 2
June 2012 45-61
© 2012 SAGE Publications
10.1177/1063426912450767
<http://jei.sagepub.com>
hosted at
<http://online.sagepub.com>

© Cossette, Feeley, Mailhot 2016

EXAMPLE 2 : MOTHERS NICU

- **Optimize mother-infant interaction with interaction-sensitivity teaching** (variety of strategies - joint observation of infant behavior, video & reading materials, video-feedback)
- **Reduce maternal anxiety with cognitive behavioral therapy**
- 6 sessions: 5 once week during NICU hospitalization + 1 after discharge at home

© Cossette, Feeley, Mailhot 2016

EXAMPLE 2 — NEONATALOLOGY



INTERVENTION

FEASIBILITY AND
ACCEPTABILITY

© Cossette, Feeley, Mailhot 2016

APPROACHES TO TRACK CHANGES, IDENTIFY GAPS AND DETERMINE FEASIBILITY /ACCEPTABILITY OF INTERVENTION

- ☐ Intervention logs kept by providers
- ☐ Track/list modifications made to intervention manual
- ☐ Regular meetings with providers
- ☐ Interviews or questionnaires - providers and/or recipients during/after intervention



INTERVENTION



© Cossette, Feeley, Mailhot 2016

Q: IS THE SEQUENCE OF INTERVENTION TOPICS FEASIBLE & ACCEPTABLE ?

Plan: Anxiety reduction deemed a necessary first step before mother's could learn about infant behavior & how interact with infant

Pilot finding: Based on providers' observations of participants' responses in intervention logs and meetings with providers, concluded that sequence was feasible, acceptable and appropriate.



© Cossette, Feeley, Mailhot 2016

Q: IS IT FEASIBLE TO PROVIDE THE 4TH SESSION IN NICU ?

- Setting should be acceptable to both the recipients (and caregivers if applicable).

Plan: one session at bedside observe infant behavior

Findings:

- ❖ Premature babies sleeping: no behavior to observe!
- ❖ Logs & provider meetings showed that distractions & interruptions difficult for discussion & observation infant.

Decision: Use photos & video rather than observation. Hold in private location!

© Cossette, Feeley, Mailhot 2016



Q: IS IT FEASIBLE TO PROVIDE THE INTERVENTION AT THE FREQUENCY PLANNED ?



Plan: one session per week

Finding:

- ❖ Delays common. Example 5th session supposed to be during feeding, but infant not able to take oral feed.

Decision:

- ❖ Not necessary for sessions to be once a week
- ❖ Patience, flexibility and rescheduling required

© Cossette, Feeley, Mailhot 2016

Q: IS THE INTERVENTION ACCEPTABLE TO MOMS ?



Questionnaire administered at end of intervention

Findings:

- ▶ 70% "very satisfied" & remaining "mostly satisfied".
- ▶ 85% "most" or "all of their needs" met
- ▶ 15/20 would recommend program to a friend
- ▶ 75% # sessions was just right
- ▶ Brochures easy to read (95%) and very helpful (75%).
- ▶ Most useful topics were: preterm infant behavior & appearance, infant communication

Decision: Acceptable to majority moms

© Cossette, Feeley, Mailhot 2016

EXAMPLE 2 — NEONATOLOGY

METHODS

FEASIBILITY AND ACCEPTABILITY

© Cossette, Feeley, Mailhot 2016

Q: CAN WE RETAIN MOTHERS IN A LONGITUDINAL STUDY ?

Plan: Enroll few weeks after admission, give intervention over few weeks to few months, continuing after discharge.

Looked at who retained, who dropped and when

Finding:

- Moms twins, triplets dropping out when one baby went home

Decision:

- Exclude from RCT



METHODS

Feasibility

Acceptability

© Cossette, Feeley, Mailhot 2016

Q: CAN WE OBSERVE MOTHER-INFANT INTERACTION IN NICU ?

METHODS

Feasibility

Acceptability

Plan: observe interaction with standardized measure looks at mother & infant behavior (observation) at enrolment. Measure used previous NICU study around discharge, babies up to 2500 grams

Findings:

- ▶ Period interaction brief or nonexistent: babies sleeping
- ▶ Moms not yet holding or removing on own, so limited
- ▶ Unit noisy, problems hear mothers or see what did



Decision: Omit pre-intervention measure of interaction

© Cossette, Feeley, Mailhot 2016



Exemple 3

SOINS AIGUS

© Cossette, Feeley, Mailhot 2016

EXEMPLE 3 : DÉLIRIUM EN SOINS AIGUS

► Phase 2: Étude pilote randomisée

► **But:** Évaluer l'acceptabilité, la faisabilité et l'efficacité préliminaire d'une intervention infirmière (MENTOR_D) de mentorat d'aidants familiaux dans la gestion du délirium postopératoire de leur proche.

► **Cible:** 30 dyads = Aidant Familial (AF) & patient

► **Intervention:**

► 7 rencontres (2 x jour + congé)

► Infirmière-mentor → AF impliqué dans la gestion du délirium

Mailhot et al. *Trials* 2014, 15:306
<http://www.trialsjournal.com/content/15/1/306>



STUDY PROTOCOL

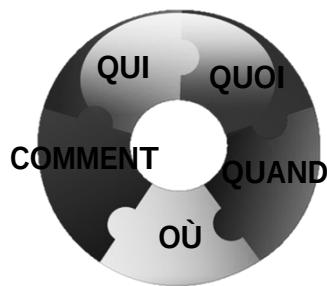
Open Access

Evaluation of a nurse mentoring intervention to family caregivers in the management of delirium after cardiac surgery (MENTOR_D): a study protocol for a randomized controlled pilot trial

TRIAL REGISTRATION
This pilot study is registered at Controlled Trials
(#ISRCTN95736036-
<http://www.controlled-trials.com>).

© Cossette, Feeley, Mailhot 2016

EXEMPLE 3 — SOINS AIGUS

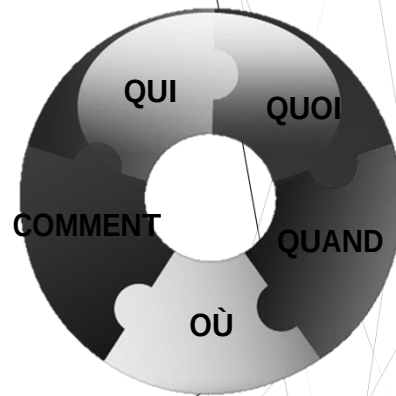


FAISABILITÉ ET ACCEPTABILITÉ DE L'INTERVENTION MENTOR_D

© Cossette, Feeley, Mailhot 2016

DÉFIS ASSOCIÉS À MENTOR_D :

- **QUI :**
 - Famille en soins aigus et patient en délirium
- **QUOI :**
 - Personnalisation de l'intervention par les familles
- **QUAND :**
 - Dans les 24 heures suite au début du délirium et 2 x par jour pendant 3 jours consécutifs
- **OÙ :**
 - Soins aigus et soins critiques



© Cossette, Feeley, Mailhot 2016

QUI : Famille en soins aigus et patient en délirium

Q: Est-ce que l'intervention peut être prodiguée à la clientèle cible ?

Intervention Mentor_D : Infirmière mentor → aidant familial → patient

- a) l'infirmière-mentor à l'aidant familial
- b) l'aidant familial au patient
- c) l'infirmière-mentor au patient

Leçons :

-  ☐ **(a) et (c) Difficultés** à trouver des aidants familiaux au chevet lors d'un délirium = *peu de patients éligibles*
-  ☐ **(a) et (b)** Intervention acceptable selon les aidants familiaux (TAPQ, sidani et al.)
- ☐ **(c)** Pas toujours possible pour l'infirmière-mentor d'agir auprès du patient (possible 50% du temps au jour 1 et 2, 70% au jour 3)

© Cossette, Feeley, Mailhot 2016



QUOI : *Personnalisation de l'intervention par les familles*

Q: Est-ce possible pour les aidants familiaux de personnaliser l'intervention prodiguée au patient ?

Leçons :

- ❑ Facile de suivre le contenu de l'intervention livré par les aidants familiaux aux patients à l'aide d'un *menu de comportements de gestion du délirium*



- ❑ La grande majorité des comportements adaptés par les AF au chevet = proviennent du menu



- ❑ Une minorité d'AF ont proposé d'autres comportements que ceux dans le menu
- ❑ Le nombre de comportements proposés par l'infirmière-mentor grandement inférieur au nombre adaptés par les AF une fois au chevet



INTERVENTION

© Cossette, Feeley, Mailhot 2016

QUAND : *Dans les 24 heures suite au début du délirium et 2 x par jour pendant 3 jours consécutifs*

Q1: Est-ce possible de débiter l'intervention dans les 24 heures suite au début du délirium ?

Q2: Est-ce possible de prodiguer l'intervention 2 fois par jour pendant trois jours consécutifs et au congé (7 rencontres)?

Leçons :



- ❑ Peu d'AF au chevet du patient dans les premiers 24 heures du délirium = peu de patients éligibles

- ❑ Rencontre au jour 3 = la plus fréquemment manquée:

- ❑ n=10 (62.5) AF = 7 rencontres



- ❑ n=1 (6.3) AF = 6 rencontres

- ❑ n=5 (31.3) AF = 5 rencontres



INTERVENTION

© Cossette, Feeley, Mailhot 2016

OÙ : Soins aigus et soins critiques

Q: Est-ce possible de procurer l'intervention aux soins critiques ET/OÙ à l'unité de soins aigus de chirurgie ?



Leçons :



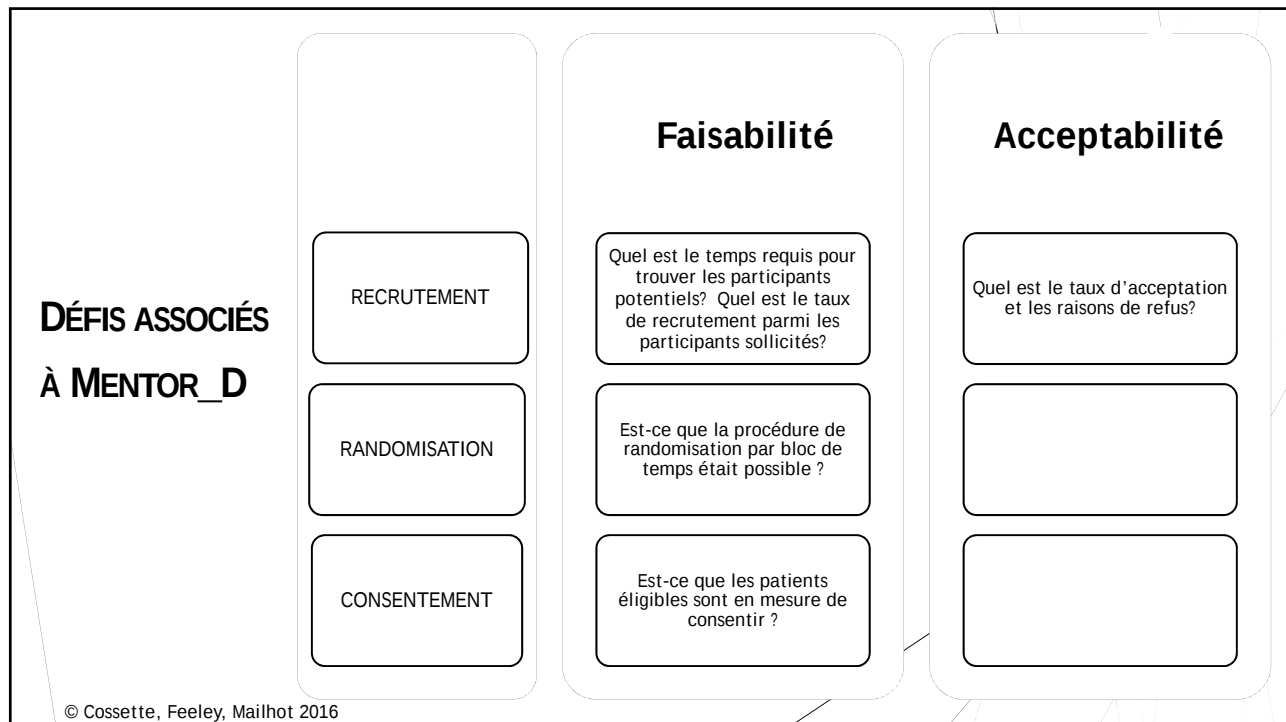
- ❑ Durée de la portion de l'intervention durant laquelle l'AF est physiquement au chevet du patient = respect des heures de visites des soins intensifs.

© Cossette, Feeley, Mailhot 2016

EXEMPLE 3 — SOINS AIGUS

FAISABILITÉ ET ACCEPTABILITÉ DU DEVIS D'ÉTUDE PILOTE RANDOMISÉE

© Cossette, Feeley, Mailhot 2016



Participation active des AF
en soins aigus



© Cossette, Feeley, Mailhot 2016

RECRUTEMENT

Q: Quel est le temps requis pour trouver les participants potentiels?
Quel est le taux de recrutement parmi les participants sollicités?

Q: Quel est le taux d'acceptation et les raisons de refus?

Leçons :

Faisabilité

Acceptabilité

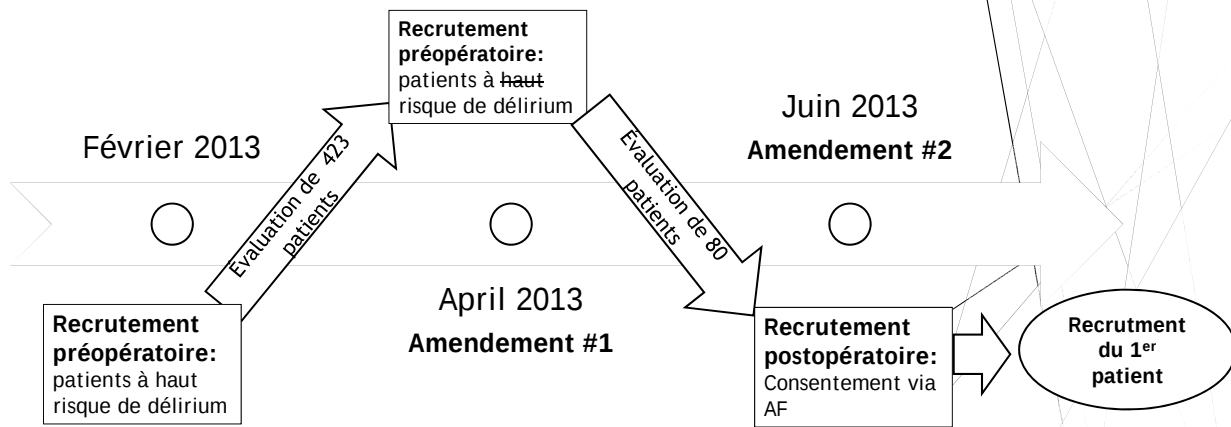
DEVIS

© Cossette, Feeley, Mailhot 2016

RECRUTEMENT

Défis de recrutement: **Qui est en délirium?**

► **Protocole original** (Février 2013) amendé **2 fois**:

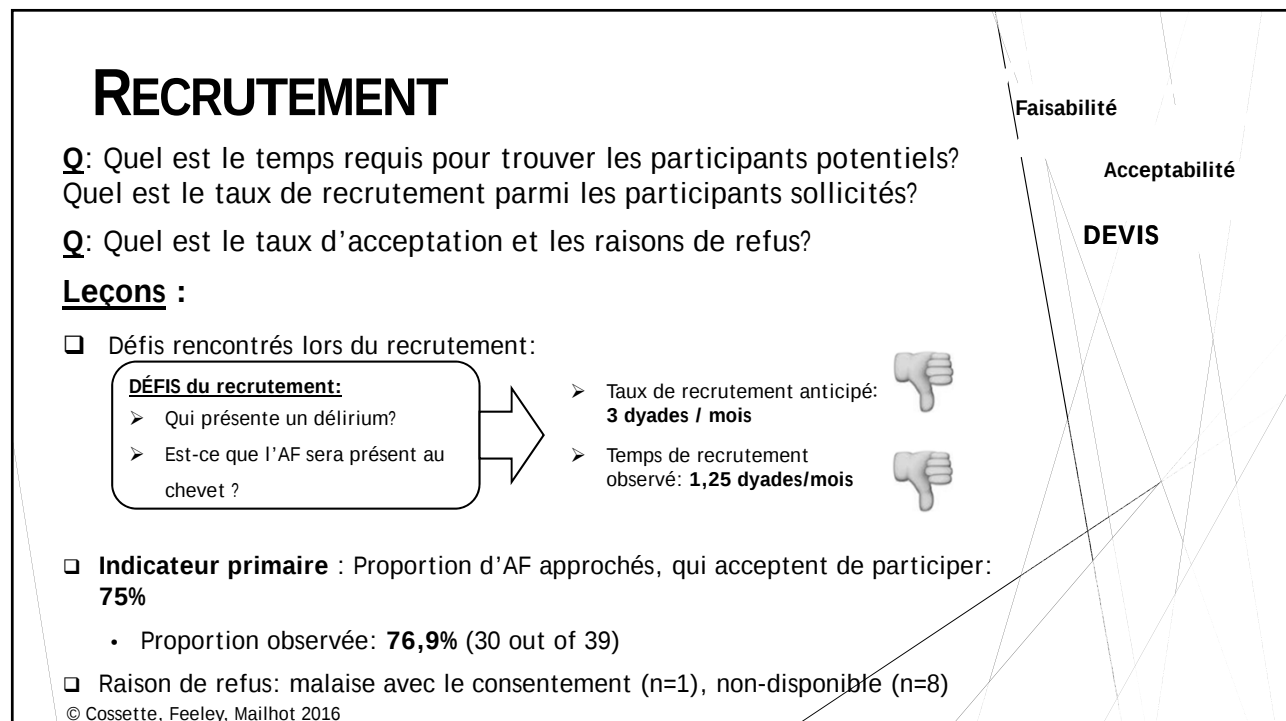
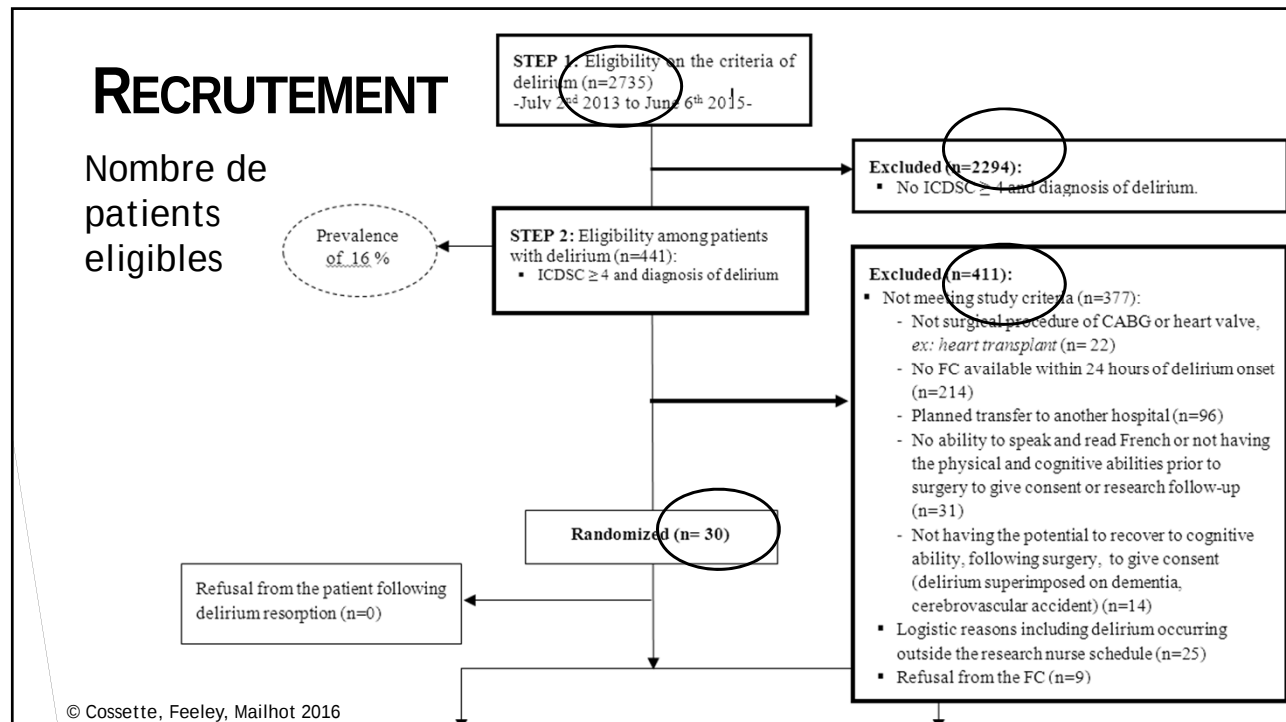


© Cossette, Feeley, Mailhot 2016

Faisabilité

Acceptabilité

DEVIS



RANDOMISATION

Q: Est-ce que la procédure de randomisation par bloc de temps était possible ?

- ❑ Défis associés à l'environnement:
 - ❑ 1 salon des visiteurs
 - ❑ Aire ouverte ou chambres à deux ou +
- ❑ Stratégies: Randomisation par bloc de temps
 - ❑ 2 semaines + 1 semaine de pause

© Cossette, Feeley, Mailhot 2016

Faisabilité

Acceptabilité

DEVIS

RANDOMISATION

Q: Est-ce que la procédure de randomisation par bloc de temps était possible ?

Leçons :

- ❑ Randomisation par bloc de temps : Faisable → 2 semaines + ~~1 semaine de pause~~
- ❑ Taux de recrutement trop lent, donc pas de nécessité de pause à tous les cycles de randomisation

© Cossette, Feeley, Mailhot 2016

Faisabilité

Acceptabilité

DEVIS

RÉSULTATS

► Intervention expérimentale:

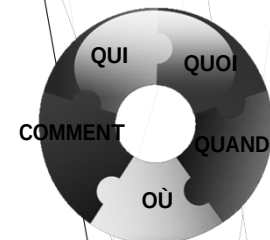
- Difficultés avec le QUI
- Autres éléments: Faisable et acceptable

► Devis:

- Difficultés avec le RECRUTEMENT
 - *MAIS*, indicateur primaire rencontré (75% versus 76,9%)
- Autres éléments: Faisable et acceptable

Wh

How



INTERVENTION

Faisabilité

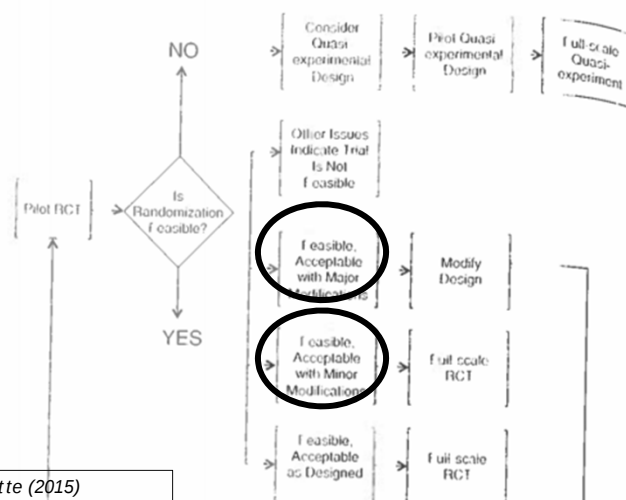
Acceptabilité

DEVIS

© Cossette, Feeley, Mailhot 2016

Donc, que faire ?

Nancy Lee and Sarah Cossette



Feeley & Cossette (2015)

© Cossette, Feeley, Mailhot 2016

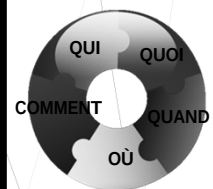
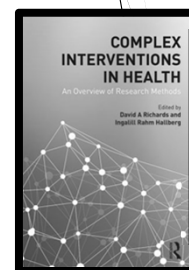
CONCLUSION

- ▶ Les bonnes questions:
 - ▶ Quelle est la faisabilité et acceptabilité ?
- ▶ Les mauvaises questions:
 - ▶ Quelle taille d'échantillon est requise?
- ▶ Les questions qui font mal?
 - ▶ Quel est l'efficacité de l'intervention?

© Cossette, Feeley, Mailhot 2016

RÉFÉRENCES

- ▶ Feeley, N., & **Cossette, S.** (2015). Testing the waters: Piloting a complex intervention. In D. A. Richards & I. Rahm Hallberg (Eds), *Complex Interventions in Health Care: An overview of Research methods* (pp 166-174). Routledge & the European Academy of Nursing Science.
- ▶ Feeley, N., & **Cossette, S.** (2015). Pilot Studies, chap 29. In Susan J. Henly (Eds), *Routledge International Handbook of Advanced Quantitative Methods for Nursing Science*. NY US, <http://www.routledge.com/books/details/9780415521802/>
- ▶ **Cossette, S.**, Frasure-Smith, N., Dupuis, J., Juneau, M., & Guertin, M.-C. (2012). Randomized controlled trial of tailored nursing Interventions to Improve cardiac rehabilitation enrollment. *Nursing Research*, 61(2), 119-128. DOI: 10.1097/NNR.0b013e318240dc6b PMID: 22282154
- ▶ Mailhot, T., **Cossette, S.**, Bourbonnais, A., Joté, J., Denault, A., Côté, M.-C., Lamarche, Y., Guertin, M.-C. (2014). Evaluation of a nurse mentoring intervention to family caregivers in the management of delirium after cardiac surgery (MENTOR D): A randomized pilot study protocol. *Trials*, 15, 206. doi:10.1186/1745-6215-15-306
- ▶ Feeley



INTERVENTION



Faisabilité

Acceptabilité

DEVIS

© Cossette, Feeley, Mailhot 2016