

Bilaga 2

Randomiserade eller kontrollerade primärstudier som mäter effekt av program för tidiga insatser för barn med autism

Här följer en kort presentation av de kontrollerade primärstudier som diskuterats i många av de olika översikterna och i andra sammanhang. Det rör sig om två randomiserade och sex orandomiserade studier av skiftande kvalitet. En sammanställning av dessa studiers grundläggande drag återfinns i tabell 3. En komplett förteckning över vilka studier som ingår i respektive översikt finns i tabell 2.

Lovaas, 1987/McEachin och medarbetare, 1993

Lovaas studie från 1987 (Lovaas, 1987) med uppföljning (McEachin *et al.*, 1993) rapporterar från ett 15-årigt projekt där 19 små barn (medelålder: 32 månader) med autism och (de flesta med) utvecklingsstörning (medel IQ 63) fick mycket intensiv, manualstyrd (Lovaas *et al.*, 1981) en-till-en beteendeträning (behavioral treatment) som inleddes av en period av discrete trial som allt eftersom fasades ut i mer naturalistiska format. Träningen bygger på operant teori. Träningen uppgick till minst 40 timmar/veckan under årets alla dagar i minst två år i alla de miljöer barnen vistades (hemma, förskolan, ute i samhället). Träningen för varje barn utfördes av en grupp välutbildade universitetsstudier under handledning och av föräldrarna. I studien ingick två kontrollgrupper eller egentligen tre. I den första kontrollgruppen fick barnen beteendeträning högst 10 timmar/vecka. Denna beteendeträning skilde sig från den mer intensiva i det att den inte innehöll fysiska aversiver (slag på låret), ett inslag som Lovaas då bedömde som mycket viktigt för det goda resultatet. Barnen placerades i de olika grupperna utifrån tillgång på tränare. Den andra kontrollgruppen var en grupp som endast hade plockats ut som jämförelse och som inte fick några planerade insatser i projektet. Den tredje gruppen bestod av typiskt utvecklade barn som jämfördes i uppföljningen med de 9 som gjorde störst framsteg. Lovaas företog en mängd åtgärder för att undvika bias och gjorde många beräkningar för att försäkra sig om att grupperna var likvärdiga. Barnen på lägst utvecklingsnivå (< IQ 37) exkluderades (15%).

Barnen i den intensiva träningsgruppen låg 30 IQ-poäng högre än barnen i kontrollgrupperna efter avslutad träning och det var signifikant fler som klarade att självständigt gå i vanlig klass. Men träningsgruppen delade upp sig i två tydliga undergrupper: nio av barnen i träningsgruppen ansågs botade (recovered) och uppnådde ”normal intellektuell och skolfunktion” och var enligt sina lärare omöjliga att skilja från sina normala vänner (”indistinguishable from their normal friends”). I de två kontrollgrupperna uppnådde ett barn samma funktion. Den andra delen av träningsgruppen gjorde mycket mindre framsteg. Den starkaste prediktorn var barnets mentala ålder (IQ) vid träningens start.

När barnen i träningsgruppen var i genomsnitt 13 år (9-19 år), vilket var 0-12 år efter avslutad träning, följdes de upp (McEachin *et al.*, 1993). Även i uppföljningen företog forskarna många åtgärder för att undvika bias, t ex blinda bedömare. Kontrollgruppen var yngre i genomsnitt och hade också varit utan träning något kortare tid. Ett visst bortfall i båda

grupperna förekom. De bedömdes nu med begåvningsstest, VABS (adaptivt beteende) och ett personlighetsinventorium för barn som mäter psykiatrisk problematik. Dessutom studerades de nio som utvecklats mest i träningsgruppen särskilt ingående och jämfördes med en ny kontrollgrupp bestående av typiskt utvecklade barn. Det visade sig att tränings- och kontrollgruppen låg kvar på samma nivå som vid avslutad träning; resultaten vidmakthölls. IQ-skilnaden på 30 poäng var signifikant på 1%-nivån, VABS-skilnaderna var inte signifikanta utom när det gällde problembeteenden (3,4 poängs skillnad, signifikant på 5%-nivån) och den psykiatriska problematiken mätt med personlighetsinventoriet skilde inte grupperna signifikant åt utom på några delskalor; båda grupperna låg dock högre än normalbefolkningen. Störst skillnad mellan grupperna var på psykoskalan (ovanliga och udda beteenden). Om man däremot studerar de nio i träningsgruppen med bäst resultat separat hamnar de på helskale-IQ 99-136, normal funktion när det gäller adaptivt beteende (VABS) 80-108 på helskala (2-16 på problembeteende, 10-13 indikerar en kliniskt signifikant nivå) och när det gäller psykiatrisk problematik hamnar endast en person på en kliniskt signifikant nivå. Slutligen observerade "blinda" observatörer de nio barnen och nio typiskt utvecklade barn (kontrollgrupp 3) (22 faktorer, 0-3 poäng). Grupperna skilde sig åt signifikant (5%-nivån). Mycket av denna skillnad svarade en enda person (samma som vid problembeteendena) med 42 poäng för i träningsgruppen. De övriga i gruppen hade mellan 0 och 10 poäng medan barnen i den ickekliniska kontrollgrupp 3 hade mellan 0-5. En av de nio som utvecklades mest i träningsgruppen ansågs vid uppföljningen inte fungera riktigt normalt längre.

Lovaas, 1987 och McEachin och medarbetare, 1993 är fortfarande den kontrollerade studie som har redovisat längst uppföljningstid. Svagheter i den här studien är tillvägagångssättet vid urval av barn och den icke-randomiserade grupp fördelningen. Man har också kritiserat måtten (IQ och skolplacering) och definitionen av normal funktion.

Birnbrauer och Leach (Birnbrauer & Leach, 1993)

Syftet med denna studie var att replikera Lovaas, 1987. Nio barn i experimentgruppen fick mindre intensiv, mindre manualstyrd, mer eklektisk och kortare träning av mindre kompetenta tränare/handledare. Fysiska aversiver förkom ej. Kontrollgruppens 5 barn fick standardomhändertagande. Gruppens barn liknade Lovaas (1987)-gruppens.

Vid uppföljningen föll två undergrupper ut i båda grupperna: en med bättre resultat och en med sämre. Data är redovisade på ett sådant sätt i artikeln att det är svårt att direkt göra jämförelser på grupp nivå. Exempelvis redovisas inga standardpoäng för VABS eller Reynell (språk) utan tillväxt per månad. Data från flera barn i båda grupperna saknas. Sammantaget var resultaten inte alls på samma nivå som i Lovaas studie.

Sammantaget skiljer sig det här upplägget på flera punkter från Lovaas. Antalet deltagare är mycket litet vilket ger mycket svag statistisk power. Data saknas också för vissa deltagare och presenteras på ett svårbegripligt sätt.

Sheinkopf och Siegel (Sheinkopf & Siegel, 1998)

Denna studie har en retrospektiv design, alltså ett slags arkivstudie med syfte att replikera Lovaas i ett annat sammanhang än det ursprungliga, nämligen utan direkt kontakt med UCLA Young Autism Project. Frågan var om Lovaas upplägg kunde fungera utan kvalificerad

universitetsbaserad handledning och utbildning/certifiering av tränare, alltså förflyttas till mer ordinära förhållanden (transportability)? Träningen sades bygga på Lovaas manual (1981) men utan fysiska aversiver. Artikelförfattarna hade ingen möjlighet att kontrollera behandlingstrohet och liknande eftersom studien utfördes efter avslutad träning. Barnen, som liknade dem som deltog i Lovaas studie (IQ och ålder) rapporterades ha fått i genomsnitt 8t/v andra interventioner utöver beteendeträningen under den här perioden. Experimentgruppen tränades i genomsnitt 27 t/v under i genomsnitt 16 månader (5,87).

Experimentgruppen hade signifikant högre IQ (ca 25 IQ) än kontrollgruppen efter avslutad träning. Experimentgruppens medel-IQ var 89,7 mot 64,3 i Kontrollgruppen. Många barns IQ mättes med Merrill-Palmer som är ett test som saknar moderna normer (från 1948) och viktat ickeverbala färdigheter högt. Data saknades för två matchade par. Förändringen av IQ korrelerade inte med intensitet i träningen. I gruppen var det så att de som hade högre ingångs-IQ tränades mer än de som hade lägre. Den relativa ökningen var dock densamma.

Antalet deltagare var även i denna studie litet (11-2 som data saknas för =9) varför den statistiska poweren är liten (svårt att upptäcka svaga samband). Inga särskilda språkmått anges. Det sammantagna resultatet är sämre än i Lovaas-studien.

Smith och medarbetare, 1997 (Smith et al., 1997)

Även denna studie är en arkivstudie som syftar till att undersöka hur barn med lägre IQ än Lovaas cut off (<IQ35) men samma åldersspann (<46 månader) svarar på intensiv träning utifrån Lovaas manual (1981). Barnen kom från Los Angeles, Kansas och Oslo. Träningsintensiteten var minst 30 t/v i minst två år i Experimentgruppen och mindre än 10 i Kontrollgruppen i högst två år. Fördelningen till de olika grupperna skedde utifrån tillgänglighet av tränare. Inga objektiva data om behandlingstrohet insamlades men träningen handleddes av Lovaas-certifierade handledare och tränarna utbildades enligt Lovaas system. I Norge sköttes träningen av lärarassistenter istället för universitetsstuderande.

För E ökade IQ från 28 till 36 (SD13,14) och i K minskade IQ från 27 till 24. Skillnaden mellan grupperna är signifikant på 5%-nivån. I E-gruppen talade alla utom en och på ett mer utvecklat sätt än i K-gruppen, där endast två av tio hade utvecklat någon form av talat språk. Det fanns stora skillnader i E-gruppen. Som mest ökade ett barns IQ med 42 (från 17 till 59). När det gällde beteendeproblem fanns inga skillnader mellan grupperna. VABS- resultaten uppvisar inga signifikanta skillnader.

Även i denna studie är antalet barn mycket litet med allt som följer med detta. Jämförelsen mellan grupperna försvåras också på grund av en mängd orsaker, bland annat hur de fördelades mellan grupperna. Studien har en svag design.

Smith och medarbetare, 2000 (Smith et al., 2000)

Detta är den hittills enda randomiserade studien som undersöker effektiviteten av intensiv träning grundad på Lovaas manual (Lovaas et al., 1981) och syftar till att validera resultaten i Lovaas, 1987. De 28 deltagarna hade diagnoserna autistiskt syndrom eller autismliknande tillstånd (PDD-NOS) (diagnosmanual anges ej). Medelåldern vid start var 36 månader, medel-IQ lite drygt 50 och de flesta var inte verbala i någon av grupperna. Intensivträningsgruppen fick intensiv träning enligt Lovaas-manualen i ca 24 t/v i två till tre år med 4-6 studenttränare som fick kvalificerad handledning; tillvägagångssättet skilde sig något från Lovaas: mindre

intensitet, träningen fasades ut efter 18 månader för de barn som gjorde långsamma framsteg, lägre krav på föräldrar och inga fysiska aversiver användes (mer än i början på några av barnen). Den andra gruppen, Föräldraträningsgruppen, arbetade också utifrån Lovaas-manualen. Föräldrarna undervisades i att använda operanta tekniker två ggr i veckan, totalt 5 timmar, i sina hem under tre till nio månader. Man betonade vikten av ett förtroendefullt samarbete med föräldrarna. Föräldrarna ombads arbeta 5 timmar i veckan på egen hand med sina barn. Dessutom gick dessa barn i specialklasser i den vanliga skolan 10-15 timmar/v. Efter den inledande upplärningsperioden hade Föräldraträningsgruppen alltså inte mer än någon enstaka handledning enligt beskrivningen i artikeln. När det gällde båda grupperna företogs behandlingstrohetsprocedurer. Artikelförfattarna företog också noggranna procedurer för att undvika bias (oberoende, blinda bedömare, etc.). Inget bortfall i någon av grupperna.

Båda grupperna följdes upp när barnen var lite drygt 90 månader, alltså flera år efter avslutad träning (vilket inte tydligt utsågs i artikeln). Den intensiva träningsgruppen hade signifikant högre IQ än Föräldraträningsgruppen vid uppföljningen (ca 17 på IQ och 15 på Merrill-Palmer – visuospatiala färdigheter; cirka 0-30 med 95% konfidensintervall) men skillnaderna på Reynell (språk), VABS, Achenbach Child Behavior Scales och skolplacering var inte statistiskt signifikanta. Två av de intensivt tränade barnen uppvisade samma nivå på resultaten som de som lyckades bäst i Lovaasstudien (1987). Inga förträningsdata predicerade utfallet vilket inte heller Early Learning Measure (test som mäter utvecklingshastighet i början av träningen) gjorde; en av delskalorna, ”expressive labels” efter tre månader kan dock ha varit förknippad med gott utfall.

Denna randomiserade studie kunde inte heller replikera resultaten i Lovaas studie. Resultaten skiljer sig inte mycket från grupperna och de som finns är osäkra på grund av låg statistisk power. Visar möjligen att även denna typ av lågintensiv föräldraträning hade förhållandevis god effekt.

Ozonoff och Cathcart, 1998 (Ozonoff & Cathcart, 1998)

Den här studien utvärderar en 10-veckors hembaserad, föräldrautförd intervention som innebar att föräldrarna uppmuntrades att träna sitt barn en halvtimme om dagen. Barnen var 2-6 år. Ett av syftena med den var att undersöka om det går att blanda olika undervisningsstrategier; de flesta barnen gick i förskola där man arbetade efter discrete trial-metodik. Under cirka en timme/vecka i 10 veckor fick föräldrarna undervisning/handledning som gick ut på att en tränare demonstrerade med barnet och föräldern tittade på med en annan tränare bakom en envägsspegel för att lära sig hur man skulle kunna göra. Träningen var inte direkt manualbaserad utan byggdes upp individuellt utifrån varje barns bland annat PEP-R-resultat. Träningen byggde på TEACCH-programmets strukturerade pedagogiska principer, visuellt stöd, ickeverbala kommunikationssystem, scheman och liknande.

De första som anmälde sig till denna träning placerades i experimentgruppen. Bedömarna var inte blinda eller oberoende.

Experimentgruppen fick signifikant högre PEP-R-resultat. De initiala värdena på helskale-PEP-R, verbal språkförmåga och symtombelastning predicerade resultatet; mild autism och bra språkförmåga predicerade bättre resultat.

Jocelyn och medarbetare, 1998 (Jocelyn et al., 1998)

Jocelyn och medarbetare randomiserade 35 barn (2-6 år) till två grupper i ett 12-veckors program. I experimentgruppen fick föräldrar och barnets assistent i förskolan undervisning om autism, handledning gavs till förskolan och föräldrarna i hur man kan förstå och träna barn med autism medan kontrollgruppen endast gick i förskola.

Man mätte barnets IQ och utvecklingsnivå inom några olika områden, en mängd familjevariabler (stress, nöjdhet, etc.) med blinda bedömare. I experimentgruppen fick barnen signifikant högre resultat vad gäller språkförmåga. Föräldrar fick högre poäng i autismskap och var mer nöjda än föräldrarna i kontrollgruppen. I båda grupperna upplevde föräldrarna (men inte papporna i experimentgruppen) att de hade mer kontroll över situationen. Däremot förändrades inte stressbelastningen.

I de vanligaste översikterna diskuteras också ett antal okontrollerade studier. Dessa kommer inte att presenteras närmare här.

Referenser

- Birnbrauer, J. S., & Leach, D. J. (1993). The Murdoch Early Intervention Program after 2 years. *Behaviour Change, 10*(2), 63-74.
- Jocelyn, L. J., Casiro, O. G., Beattie, D., Bow, J., & Kneisz, J. (1998). Treatment of children with autism: a randomized controlled trial to evaluate a caregiver-based intervention program in community day-care centers. *J Dev Behav Pediatr, 19*(5), 326-334.
- Lovaas, O. (1987). Behavioral treatment and normal educational and intellectual functioning in young autistic children. *Journal of Consulting & Clinical Psychology, 55*(1), 3-9.
- Lovaas, O. I., Ackerman, A. B., Alexander, D., Firestone, P., Perkins, J., & Young, D. (1981). *Teaching developmentally disabled children: The me book*. Austin, TX: Pro-Ed.
- McEachin, J. J., Smith, T., & Lovaas, O. I. (1993). Long-term outcome for children with autism who received early intensive behavioral treatment. *Am J Ment Retard, 97*(4), 359-372; discussion 373-391.
- Ozonoff, S., & Cathcart, K. (1998). Effectiveness of a home program intervention for young children with autism. *J Autism Dev Disord, 28*(1), 25-32.
- Sheinkopf, S. J., & Siegel, B. (1998). Home-based behavioral treatment of young children with autism. *J Autism Dev Disord, 28*(1), 15-23.
- Smith, T., Eikeseth, S., Klevstrand, M., & Lovaas, O. I. (1997). Intensive behavioral treatment for preschoolers with severe mental retardation and pervasive developmental disorder. *Am J Ment Retard, 102*(3), 238-249.
- Smith, T., Groen, A. D., & Wynn, J. W. (2000). Randomized trial of intensive early intervention for children with pervasive developmental disorder. *Am J Ment Retard, 105*(4), 269-285.