

Angemessenheit der Methoden und Designs in der VF

Workshop
"Arzneimitteltherapie und Versorgungsforschung"

Clearingstelle Versorgungsforschung NRW

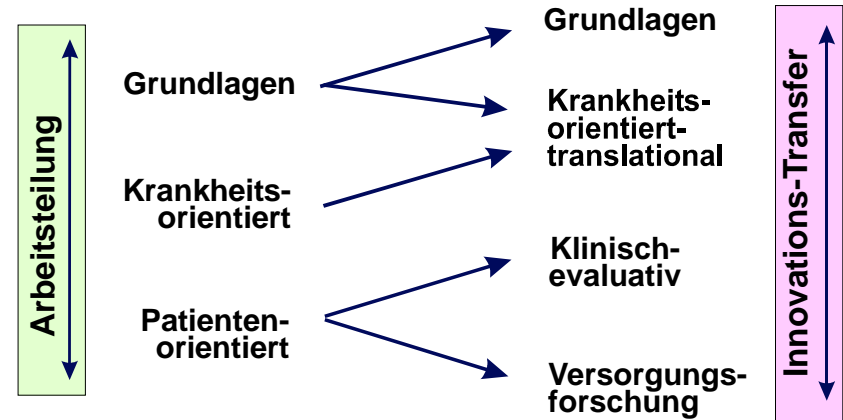
Köln, 08.02.2007

Prof. Dr. M. Schrappe

Klinische Forschung

DFG Denkschrift 1999

Aktuelles Konzept 2006



Prof. Dr. M. Schrappe

Translation in Clinical Research

Artikel zur Grundlagenforschung 1979-1983 in Science, Nature, Cell, J. Exp. Med., J. Clin. Invest., J. Biol. Chem.

Ergebnisse:

- ➔ Artikel 25.190
- ➔ Enthielten Suchbegriffe 562
- ➔ Einschlusskriterien erfüllt 101
- ➔ Mind. 1 publiziert in Zeitschrift /2002 27
- ➔ Mind. 1 publiziert in Zeitschrift über ACE-Inhibitors Studie 19
- ➔ Zugelassen für die Anwendung 5
- ➔ Nutzen in der breiten Anwendung 1

Contopoulos-Ioannidis et al. Am. J. Med, 114, 2003, 477

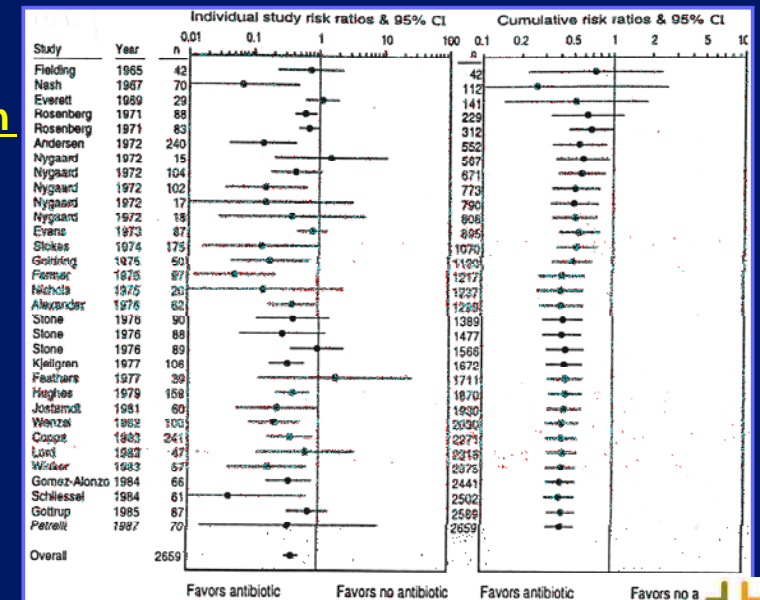
Prof. Dr. M. Schrappe, Dekan der
Fakultät für Medizin der Universität Witten/Herdecke



Ethische Implikationen von RCT's: Aktualität

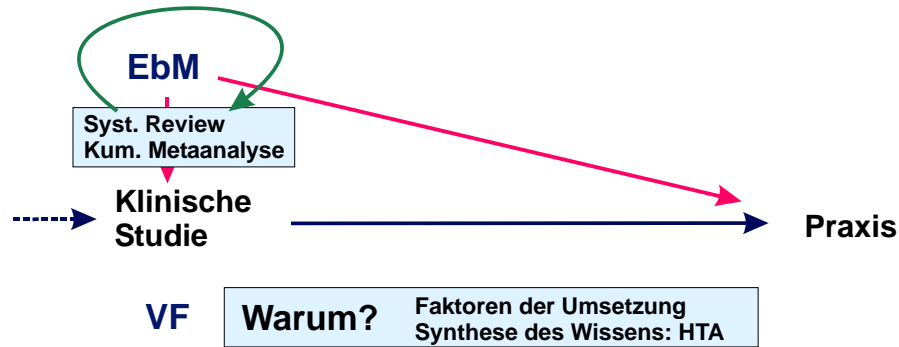
Perioperative
Antibiotika-
Prophylaxe
in der Colon-
Chirurgie

Ioannidis JP,
CID 29, 1999, 1178



Prof. Dr. M. Schrappe, Klinikum der Philipps-Universität Marburg/L.

EbM und Versorgungsforschung



Methodik klinischer Forschung

	Klinisch-evaluative Forschung	Versorgungs- forschung
Wirksamkeit	absolut (efficacy)	relativ (effectiveness)
Bedarf	objektiv	

Bedarf

Bedarf

- ➔ Zustand, dessen Behandlung gesundheitlichen Nutzen erwarten läßt

Objektiver Bedarf

- ➔ **Fachlich bzw. wissenschaftlich bestätigter** Bedarf

Methodik klinischer Forschung

	Klinisch-evaluative Forschung	Versorgungs- forschung
Wirksamkeit	absolut (efficacy)	relativ (effectiveness)
Bedarf	objektiv	
Nutzenbewertung	klinische Endpunkte	

Methodik klinischer Forschung

	Klinisch-evaluative Forschung	Versorgungs- forschung
Wirksamkeit	absolut (efficacy)	relativ (effectiveness)
Bedarf	objektiv	
Nutzenbewertung	klinische Endpunkte	
Präferierte Meth.	RCT > CT > HCT	
Interne Validität	EBM	
Externe Validität	niedrig(er)	

Methodik klinischer Forschung

	Klinisch-evaluative Forschung	Versorgungs- forschung
Wirksamkeit	absolut (efficacy)	relativ (effectiveness)
Bedarf	objektiv	subjektiv
Nutzenbewertung	klinische Endpunkte	
Präferierte Meth.	RCT > CT > HCT	
Interne Validität	EBM	
Externe Validität	niedrig(er)	

Bedarf

„Die Feststellung von Bedarf schließt also subjektive und gesellschaftliche, professionelle und wissenschaftliche Urteile über einen behandlungsbedürftigen Zustand und über den möglichen bzw. hinreichend gesicherten gesundheitlichen Nutzen (*benefit*) von gegenwärtig verfügbaren Verfahren und Einrichtungen zur Behandlung dieses Zustandes ein.“ (SVR 2001, S. 43)

Bedarf

Bedarf

- ➔ Zustand, dessen Behandlung gesundheitlichen Nutzen erwarten läßt

Objektiver Bedarf

- ➔ Fachlich bzw. wissenschaftlich bestätigter Bedarf

Subjektiver Bedarf

- ➔ Subjektiver und ausgedrückter Wunsch nach Versorgung

Nachfrage

- ➔ Wunsch nach Versorgung und Zahlungsbereitschaft

Methodik klinischer Forschung

	Klinisch-evaluative Forschung	Versorgungs- forschung
Wirksamkeit	absolut (efficacy)	relativ (effectiveness)
Bedarf	objektiv	subjektiv
Nutzenbewertung	klinische Endpunkte	Angemessenheit
Präferierte Meth.	RCT > CT > HCT	
Interne Validität	EBM	
Externe Validität	niedrig(er)	

Prof. Dr. M. Schrappe

Appropriateness

Care is defined as appropriate when

“... for an average group of patients presenting to an average US physician ...

- ➔ the expected health benefit exceeds the expected negative consequences by a sufficiently wide margin ...”

RAND-Corp., Brook, Chassin et al. 1986



Prof. Dr. M. Schrappe, Wissenschaftlicher
Geschäftsführer der Universität Witten/Herdecke



Appropriateness

Maß für Over-, Under- or Misuse hinsichtlich

- ➔ Evidence
- ➔ Leitlinien-Konformität
- ➔ Experten-Meinung

Shekelle NEJM 344, 2001, 677



Prof. Dr. M. Schrappe, Dekan der
Fakultät für Medizin der Universität Witten/Herdecke



Appropriateness

Maß für Versorgungsqualität hinsichtlich

- ➔ Effectiveness
- ➔ Efficiency
- ➔ Ethical considerations

Jackson, R. 2001 (BMG-Workshop Koblenz)



Prof. Dr. M. Schrappe, Dekan der
Fakultät für Medizin der Universität Witten/Herdecke



Angemessenheit

“Das Gebiet der Angemessenheit ist ein komplexes Thema mit unterschiedlichen Kriterien und Definitionen (...)

... Die Beurteilung fasst

- klinische
- das öffentliche Gesundheitswesen betreffende,
- ökonomische,
- soziale,
- ethische und
- rechtliche Überlegungen zusammen.”



WHO Workshop “Angemessenheit ...”, Koblenz, 2000

Prof. Dr. M. Schrappe, Wissenschaftlicher
Geschäftsführer der Universität Witten/Herdecke



Angemessenheit

- Die Beschreibung des Nutzens für den individuellen Patienten oder Patientengruppen durch die relative Wirksamkeit einer Gesundheitsleistung,
- umfassend die in klinischen Studien nachgewiesene Wirkung und
- die **Präferenzen von Individuen, Gemeinschaft und Gesellschaft.**



Prof. Dr. M. Schrappe, Dekan der
Fakultät für Medizin der Universität Witten/Herdecke



Methodik klinischer Forschung

	Klinisch-evaluative Forschung	Versorgungsforschung
Wirksamkeit	absolut (efficacy)	relativ (effectiveness)
Bedarf	objektiv	subjektiv
Nutzenbewertung	klinische Endpunkte	Angemessenheit
Präferierte Meth.	RCT > CT > HCT	
Interne Validität	EBM	HTA
Externe Validität	niedrig(er)	

Prof. Dr. M. Schrappe

Health Technology Assessment

“... is the careful evaluation of a medical technology for **evidence of its safety, efficacy, cost, and cost-effectiveness** and its **ethical and legal implications**, both in absolute terms and in comparison with other competing technologies.”



Seymour Perry, JAMA 1981

Prof. Dr. M. Schrappe, Wissenschaftlicher
Geschäftsführer der Universität Witten/Herdecke



Methodik klinischer Forschung

	Klinisch-evaluative Forschung	Versorgungs- forschung
Wirksamkeit	absolut (efficacy)	relativ (effectiveness)
Bedarf	objektiv	subjektiv
Nutzenbewertung	klinische Endpunkte	Angemessenheit
Präferierte Meth.	RCT > CT > HCT	
Interne Validität	EBM	HTA
Externe Validität	niedrig(er)	hoch (höher)

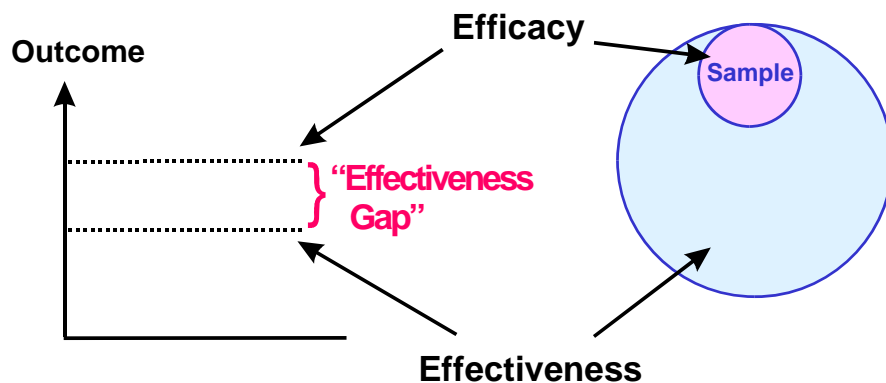
Prof. Dr. M. Schrappe

Methodik klinischer Forschung

	Klinisch-evaluative Forschung	Versorgungs- forschung
Wirksamkeit	absolut (efficacy)	relativ (effectiveness)
Bedarf	objektiv	subjektiv
Nutzenbewertung	klinische Endpunkte	Angemessenheit
Präferierte Meth.	RCT > CT > HCT	... + sozialwiss. Meth.
Interne Validität	EBM	HTA
Externe Validität	niedrig(er)	hoch (höher)

Prof. Dr. M. Schrappe

Effectiveness Gap

Prof. Dr. M. Schrappe, Dekan der
Fakultät für Medizin der Universität Witten/Herdecke

Effectiveness Gap: Einflußfaktoren

- ➔ **Patienten-bezogene Faktoren**
 - Alter
 - Geschlecht
 - Ethnische Zugehörigkeit
 - Komorbidität
 - Präferenzen
- ➔ **Health Care Professionals**
 - Skills and Knowledge
 - Lernbereitschaft
 - Einstellungen
- ➔ **Organisationen**
 - Flexibilität
 - Innovationsnähe
 - Integrationsleistung
- ➔ **Systemfaktoren**
 - Finanzierung
 - Sektorenbildung

Prof. Dr. M. Schrappe, Dekan der
Fakultät für Medizin der Universität Witten/Herdecke

Arzneimittel-bedingte UE

Unerwünschte Arzneimittelwirkungen

- ➔ Physiologische Dosis
- ➔ Nicht-physiologische Dosis

Medikationsfehler

- ➔ Verordnungsphase
- ➔ Übertragungsphase
- ➔ Distributionsphase
- ➔ Applikationsphase



Prof. Dr. M. Schrappe, Wissenschaftlicher
Geschäftsführer der Universität Witten/Herdecke



ADEs: Letalität

- ➔ Studien nach 1976: **0,04 %**
Lazarou et al. JAMA 279, 1998, 1200 (Metanalyse)
- ➔ Metaanalyse: **0,19 %**
Lazarou et al. JAMA 279, 1998, 1200 (Metanalyse)
- ➔ Innere Medizin, prospektiv: **0,95 %**
Ebbesen et al. Arch. Intern. Med. 161, 2001, 2317

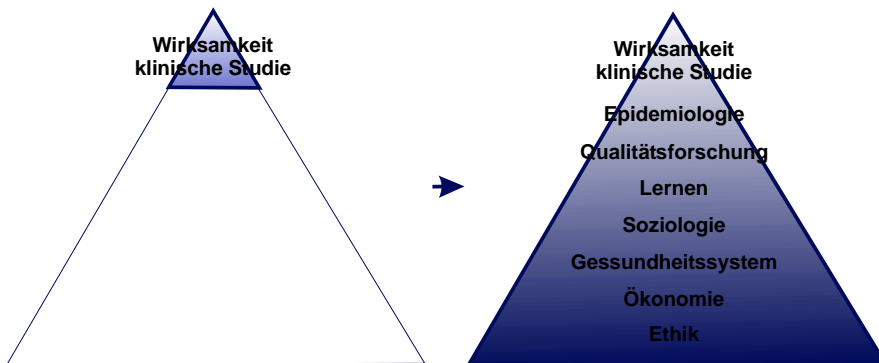


Zusammenstellung n. Schnurrer, Frölich Internist 44, 2003, 889

Prof. Dr. M. Schrappe, Klinikum der Philipps-Universität Marburg/L.



Klinische und Versorgungsforschung



Prof. Dr. M. Schrappe, Dekan der
Fakultät für Medizin der Universität Witten/Herdecke



Methodik der Versorgungsforschung

- ➔ Die Nutzenbewertung i.S. der relativen Wirksamkeit bezieht sich auf das Konzept der Angemessenheit.
 - ➔ Die Evaluation der Angemessenheit ist Aufgabe der VF und bedient sich epidemiologischer, biometrischer, ökonomischer und sozialwissenschaftlicher Ansätze.
 - RCTs als Goldstandard der klinisch-evaluativen Forschung steht nicht in Frage.
- HTA ist die “EBM der Versorgungsforschung” und beschreibt die interne Validität dieser externen Information.
- Die Methoden der Versorgungsforschung müssen klar spezifiziert werden in ihrer methodischen Qualität beschrieben werden, auf das Verhältnis zwischen Studienqualität und Ergebnis untersucht werden.

Schluß

Vielen Dank für Ihre Aufmerksamkeit !

Prof. Dr. M. Schrappe