

Fokus Rehabilitation 2018

Institut für Rehabilitationsmedizinische Forschung an der Universität Ulm
Sitz: Federseeklinik Bad Buchau, Am Kurpark 1, 88422 Bad Buchau

Sollen die drei 40 Jahre alten Forderungen von
Sir A. Cochrane und Sir A. Bredford Hill:
Can it work?, Does it work?, Is it worth it?
auch in der Rehabilitation angewandt werden?

Prof. Dr. Franz Porzsolt
Institute of Clinical Economics (ICE) e.V., 89081 Ulm / Germany
mindset@clinical-economics.com www.clinical-economics.com

ICE

Can it work?, Does it work?, Is it worth it?

Porzsolt / Zimmermann.

Optimierung der Gesundheitsversorgung am Beispiel der Rehabilitation.

Angestrebte Ziele sind zu definieren und erreichte Ziele zu bestätigen

(Med Klin 2010;105:345–50. DOI 10.1007/s00063-010-1063-1)

ZUSAMMENFASSUNG

Der Aufsatz versucht in komprimierter Form, das aktuelle Problem der Finanzierung des Gesundheitssystems auf die Bereiche der Rehabilitation zu übertragen.

Es wird gezeigt, dass auch in der Rehabilitation – wie in allen anderen Bereichen des Gesundheitssystems – erhebliche Reserven stecken, die nicht eingespart, sondern in effiziente Leistungen umgewandelt werden sollen.

Würden wir die Mittel einsparen, blieben die Probleme erhalten, sie wären nur leichter zu finanzieren.

Can it work?, Does it work?, Is it worth it?

Porzsolt / Zimmermann. Teil II

Wenn wir dagegen überlegen, wie wir mehr Gesundheitswerte mit den gleichen Mitteln generieren können, werden wir mehr Probleme als bisher lösen.

Der Aufsatz zeigt, dass der Einstieg zur Verbesserung über die klare Definition von Zielen läuft.

Nur wer Ziele definiert, kann Ziele erreichen, und nur wer erreichte Ziele zählt, kann feststellen, unter welchen Bedingungen angestrebte Ziele häufig erreicht werden.

Handlungsbedarf besteht dort, wo nicht bekannt ist, wie häufig die angestrebten Ziele tatsächlich erreicht werden.

Can it work?, Does it work?, Is it worth it?

- *Die Antworten auf diese Fragen beschreiben die drei Ebenen der generellen Nutzenbewertung von Gesundheitsleistungen:*
 - *Can it work? [efficacy]*
 - *Does it work? [effectiveness]*
 - *Is it worth it? [value]*

Haynes, B., Can it work? Does it work? Is it worth it? : The testing of healthcare interventions is evolving. BMJ : British Medical Journal, 1999. 319(7211): p. 652-653.

Can it work?, Does it work?, Is it worth it?

- *Das Assessment in der Rehabilitation betrifft die **zweite und dritte Ebene** der Nutzenbewertung.*
 - *Does it work [Effectiveness]*
 - *Is it worth it [Value]*
- *Der **prinzipielle Nachweis des Nutzens von** Reha-bilitationsleitungen mittels RCT unter Idealbe-dingungen, wird **in der ersten Ebene** erbracht*
 - *Can it work? [Efficacy]*

Can it work?, Does it work?, Is it worth it?

- Die Reha-Forschung *prüft lediglich*, ob eine prinzipiell nützliche Gesundheitsleistung auch bei Anwendung in der Reha *mehr nützt als schadet*.
- Diese Prüfung erfordert *keine experimentelle Studie (RCT)* sondern lediglich eine beschreibende Studie, die allerdings ebenso *kontrolliert sein muss (PCT)* wie eine experimentelle Studie.

Can it work?, Does it work?, Is it worth it?

- *Methodische Limitationen von Randomized Controlled Trials*
 - *Die Gleichverteilung unbekannter Risikofaktoren*
 - *Die Präferenzen von Ärzten und Patienten*

Can it work?, Does it work?, Is it worth it?

- *Die Gleichverteilung unbekannter Risikofaktoren*
 - *... wie groß muss ein RCT sein, damit alle Risikofaktoren (unabhängig von deren Effektstärke und Varianz) auf die Studienarme gleich verteilt sind?*

Can it work?, Does it work?, Is it worth it?

- *Annahmen* zur Durchführung der Modellrechnung
 - Zahl der **unbekannten** Risikofaktoren $n = 10$
 - Die Risikofaktoren sind **voneinander unabhängig**
 - Die Verteilung der Risikofaktoren ist **dichotom**
 - Die maximal tolerierte absolute **Differenz** $d < 5\%$

Modellrechnung zur erforderlichen Studiengröße

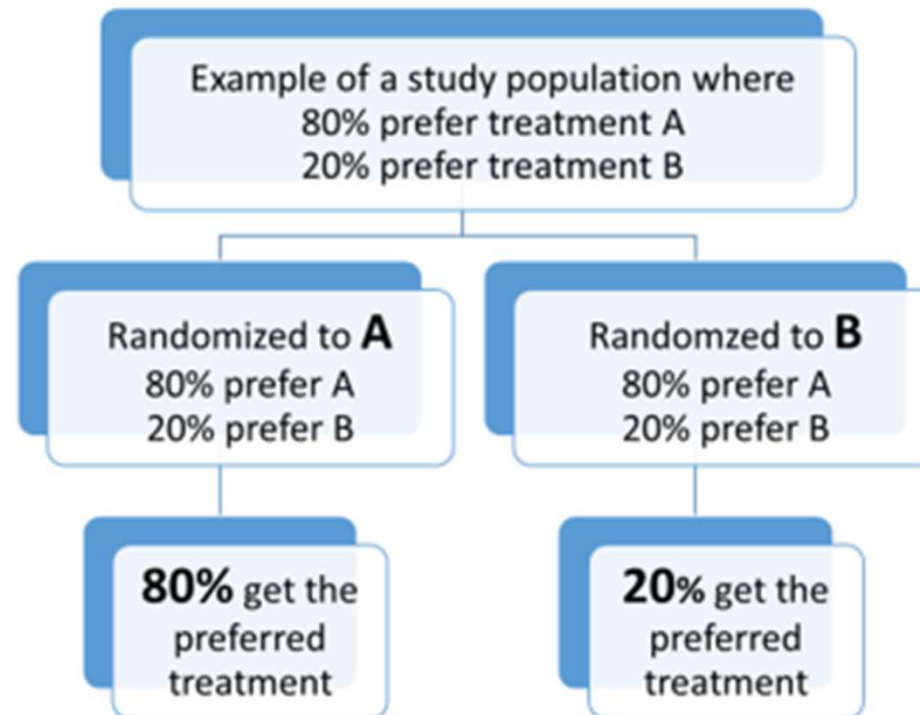
Sample size	Maximal absolute difference	Probability (p) of unequal distribution of at least 1 of 10 unknown risk factors
n = 50	1 %	1
	2 %	0,99958
	5 %	0,92494
n = 100	1 %	0,99997
	2 %	0,99725
	5 %	0,75163
n = 500	1 %	0,99702
	2 %	0,85250
	5 %	0,06025
n = 1000	1 %	0,97348
	2 %	0,54230
	5 %	0,00328
n = 2000	1 %	0,85249
	2 %	0,18954
	5 %	0,00002
n = 5000	1 %	0,41859
	2 %	0,01014
	5 %	0



Can it work?, Does it work?, Is it worth it?

- *Präferenzen* von Arzt/Patient beeinflussen Ergebnisse von RCTs.
- Wir bezeichnen Präferenzen als „*stark*“, wenn sie unbewusste und bewusste Entscheidungen beeinflussen.
- Wir bezeichnen Präferenzen als „*schwach*“ wenn sie nur unbewusste aber keine bewussten Entscheidungen beeinflussen.

Einfluss schwacher Präferenzen auf die Ergebnisse von RCTs



Can it work?, Does it work?, Is it worth it?

- *Präferenzen von Arzt/Patient beeinflussen Ergebnisse von RCTs.*
- *Demnach wird die **externe Validität** von RCTs (Teilnahme oder Nicht-Teilnahme an einem RCT) durch **starke Präferenzen** von Ärzten und Patienten beeinflusst.*
- *Die **interne Validität** von RCTs (Ergebnis des RCT) wird durch **schwache Präferenzen** von Ärzten und Patienten beeinflusst.*

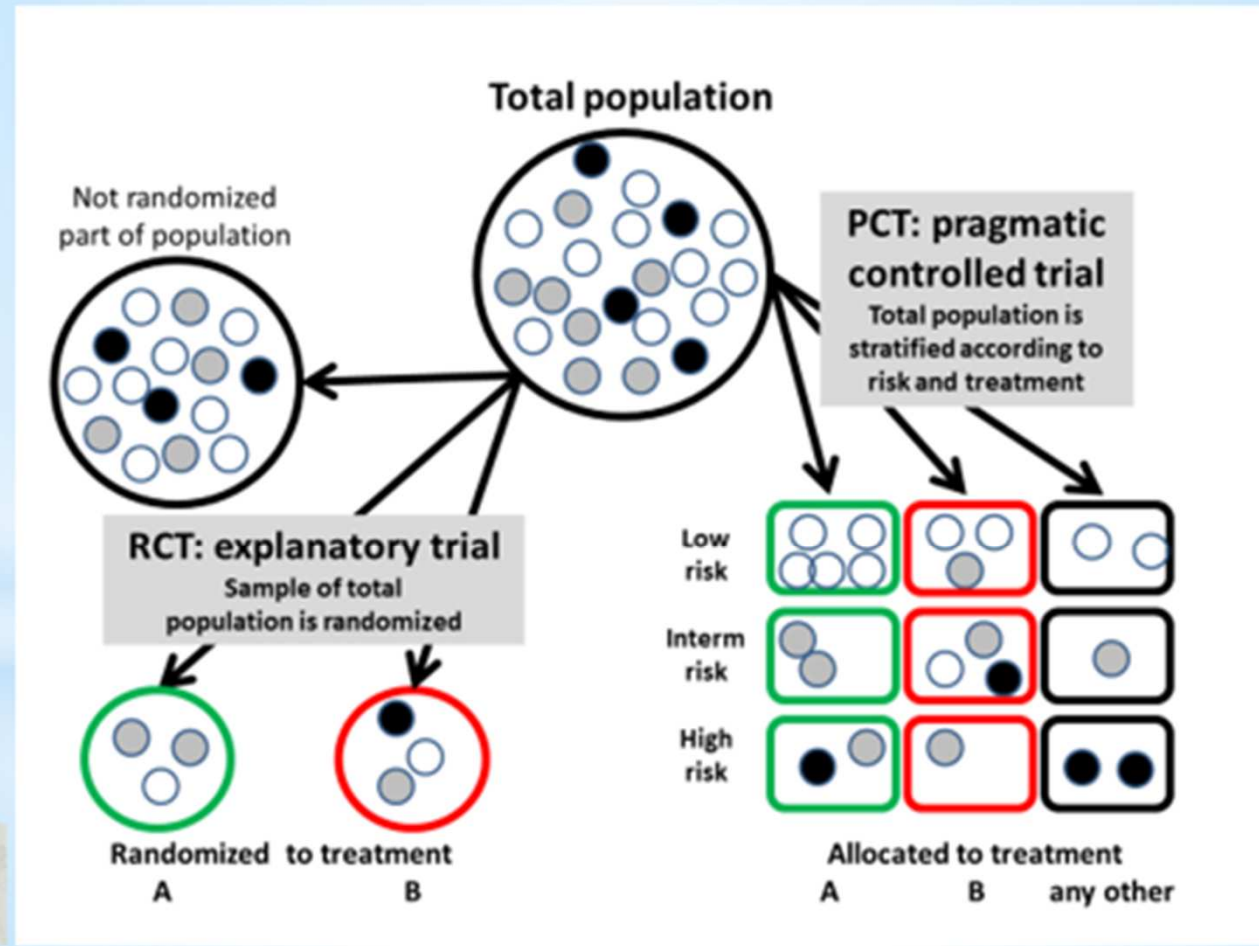
Welcher Studientyp für welchen Nachweis?

- *Randomisierte Kontrollierte Studien (RCTs) und Pragmatische Kontrollierte Studien (PCTs) eignen sich, um unterschiedliche Ziele zu erreichen, erfordern aber verschiedene Bedingungen.*
- *Wir unterscheiden deshalb bei der Durchführung von Studien idealen Bedingungen [Ideal Study Conditions (ISC)] und Alltagsbedingungen [Real World Conditions (RWC)].*
- *ICS sind erforderlich, um die Effekte eines Experiments zu beschreiben während RWC erforderlich sind, um die Effekte der Versorgung zu beschreiben.*

Welcher Studientyp für welchen Nachweis?

Question	Condition	Type of study	Tool
Can it work?	Ideal study	Explanatory	Randomized Controlled Trial [RCT]
Does it work?	Real World	Pragmatic	Pragmatic Controlled Trial [PCT]
Is it worth it?	Real world	Economic	Complete Economic Analysis [CEA]

PCTs are supplement to RCTs



Welcher Studientyp für welchen Nachweis?

- *Effekte der zufalls- oder präferenzbasierten Therapiewahl*

Randomisierte Gruppen



Studienspezifischer Risiko-Mix in beiden Gruppen



Stratifizierte Gruppen

Endpoint #1	Treatment „A“	Treatment „B“	Any other treatm. except „A“ or „B“
High risk related to endpoint #1	●	●	● ●
Interm. risk related to endpoint #1	●	●	● ● ● ● ● ● ● ●
Low risk related to endpoint #1	● ● ● ● ● ● ● ●	● ●	● ●

Welcher Studientyp für welchen Nachweis?

- *Mehrwert der Dreidimensionalen Nutzenbewertung I*
 - *Jede Dimension wird unter definierten Bedingungen mit einem definierten Instrument gemessen.*
 - *CEA: Complete Economic Analysis e.g. Cost-Effectiveness Analysis.*

Dimensionen	Efficacy	Effectiveness	Value
Bedingungen	ISC	RWC	RWC
Instrumente	RCT	PCT	CEA*

Welcher Studientyp für welchen Nachweis?

- *Mehrwert der Dreidimensionalen Nutzenbewertung II*
 - *In der Regel ist der Nachweis der Efficacy mit zwei RCTs ausreichend, um den „proof of principle“ zu erbringen.*
 - *Dabei handelt es sich um Humanexperimente, die aus ethischen Gründen auf ein minimal erforderliches Maß zu reduzieren sind.*
 - *Alle weitergehenden Untersuchungen können und sollten unter Versorgungsbedingungen (RWC) durchgeführt werden, weil die Alltagstauglichkeit (effectiveness) und der Nutzen (value), jedoch **nicht nochmals** die efficacy der geprüften Intervention nachzuweisen ist.*

Welcher Studientyp für welchen Nachweis?

- *Mehrwert der Dreidimensionalen Nutzenbewertung III*
 - *Die Durchführung eines PCT unterscheidet sich erheblich von der eines RCT, weil ein PCT **den Versorgungsalltag, aber kein Humanexperiment** beschreibt.*
 - *Dazu ist allerdings notwendig, dass **vor Beginn des PCT** die **Einschlusskriterien**, die **Endpunkte** und die **endpunkt-relevanten Risikofaktoren** definiert werden und jeder Patient anhand **seines Risikoprofils für jeden Endpunkt separat** einer von drei Risikogruppen zugeordnet wird.*
 - *Zu vorgegebenen Zeitpunkten wird das Erreichen der definierten Endpunkte dokumentiert.*

Welcher Studientyp für welchen Nachweis?

- *Mehrwert der Dreidimensionalen Nutzenbewertung IV*
 - *Die Durchführung einer **kompletten ökonomischen Analyse** (CEA) entspricht einer subjektiven Abschätzung des Wertes (= Verhältnis von Aufwand/Ertrag oder Kosten/Nutzen).*
 - *Diese Abschätzung des Wertes wird von **unterschiedlichen Akteuren (Patient, Arzt, Krankenversicherung)** vorgenommen. Dazu verwendet **jeder Akteur subjektive Maßstäbe**.*
 - *Um diese subjektiven Abschätzung miteinander vergleichen zu können, sind diese subjektiven Bewertungen auf **identischen Skalen** abzubilden.*

Welcher Studientyp für welchen Nachweis?

- *Mehrwert der Dreidimensionalen Nutzenbewertung V*
 - Die Ergebnisse zur *efficacy und effectiveness* werden für *strategische Entscheidungen* benötigt. Die Ergebnisse zum *Wert* einer Intervention werden *vor Ort direkt und sofort* benötigt, um Versorgungsentscheidungen zu treffen.
 - Deshalb sind komplexe Berechnungen für die Praxis ungeeignet. Wir schlagen eine Skala vor, die von jedem Patienten anwendbar ist: *Problem vollständig/teilweise/kaum/nicht gelöst; und neues Problem aufgetreten j/n?*
 - Da die Werturteile alle beteiligten Akteure vergleichbar sein sollen, wird eine einheitliche Skala vorgeschlagen.

Welcher Studientyp für welchen Nachweis?

- *Mehrwert der Dreidimensionalen Nutzenbewertung VI*
 - *Die dreidimensionale Nutzenbewertung wird im Vergleich zu bisher üblichen Nutzenbewertung, die überwiegend auf Daten zur efficacy beruht*
 - *Aussagekräftiger*
 - *Schneller zu erstellen und*
 - *Kostengünstiger sein,*
- weil von den Behörden klare und einfache Vorgaben definiert werden können, die daraufhin ausgelegt sind, vergleichende Nutzenbewertungen unter Alltagbedingungen zu ermöglichen.*

Vielen Dank für Ihre Aufmerksamkeit