

Comparative Effectiveness Research in der Onkologie

Claudia M. Witt, MD, MBA 

Professor of Medicine

Vice Director

Institute for Social Medicine, Epidemiology
and Health Economics

Charité University Medical Center Berlin

www.charite.de/cam

Senior Fellow



Visiting Professor



UNIVERSITY of MARYLAND
SCHOOL OF MEDICINE
CENTER FOR INTEGRATIVE MEDICINE



Hintergrund

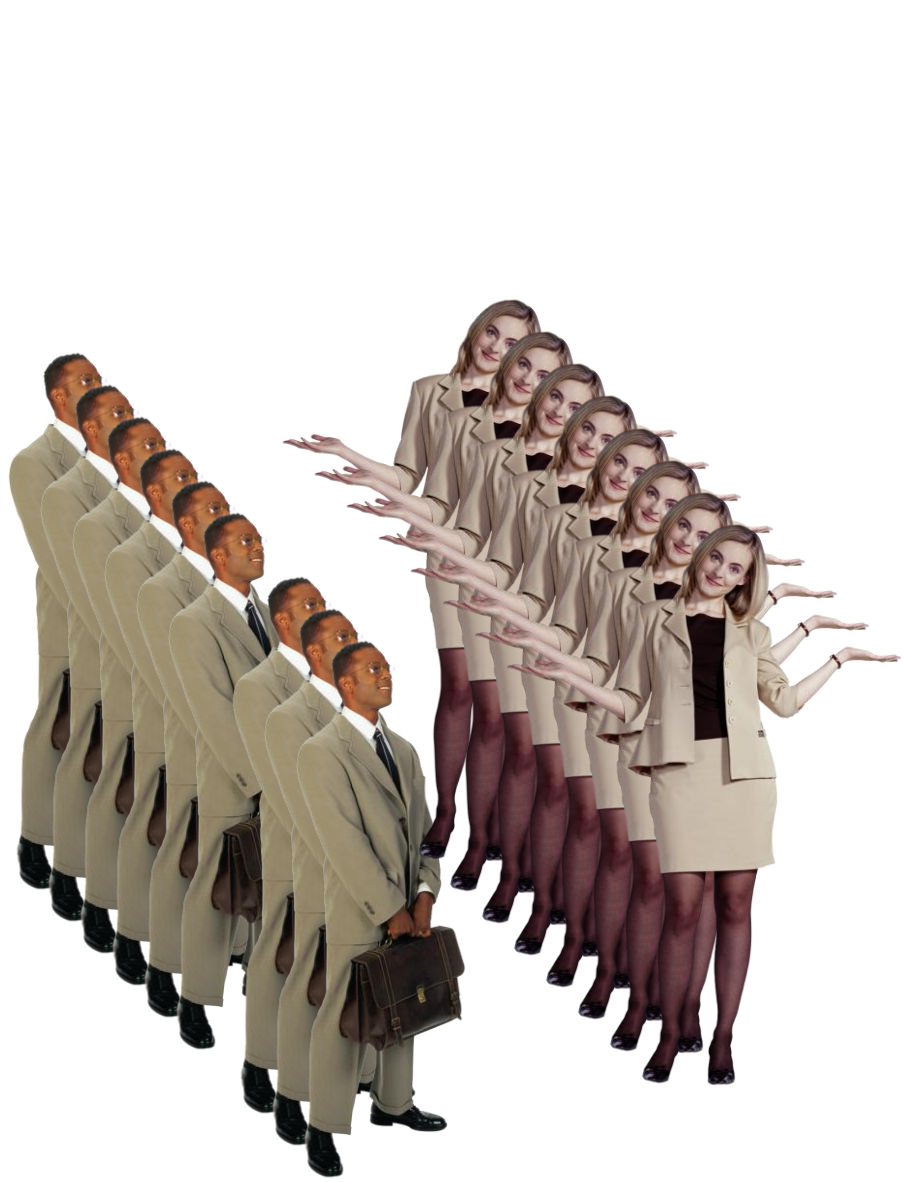
- Mehr Studien mit Relevanz für Entscheidungsträger werden benötigt
- American Recovery and Reinvestment Act 2009 (\$US 1,1 Mrd. über 2 Jahre für CER)
- Randomisierte Studien können ihren Schwerpunkt eher bei der Evaluation der ‚efficacy‘ oder der ‚effectiveness‘ einer Therapie setzen.

Definitionen

- **Efficacy** beschreibt das Ausmaß zu dem eine spezifische Intervention unter idealen Ausgangsbedingungen wirksam ist.
- **Effectiveness** beschreibt das Ausmaß, zu dem eine Intervention, wenn in der Normalversorgung angewendet, für diese Population wirksam ist.

*What is wrong with you?
The studies say that you should get better!*





Definitionen

Comparative Effectiveness Research (CER) ist die **Erzeugung und Synthese von Evidenz, welche Nutzen und Risiko alternativer Methoden** zur Prävention, Diagnostik, Behandlung, oder Steuerung einer Erkrankung oder zur Verbesserung der Gesundheitsversorgung **vergleicht.**

Das **Ziel von CER ist es, Verbraucher, Ärzte, Versicherer und politische Entscheidungsträger** darin **zu unterstützen, informierte Entscheidungen zu treffen,** die die Gesundheitsversorgung auf beiden Ebenen verbessern, der individuellen und der Bevölkerungsebene

Efficacy

Effectiveness

standardisiert

Behandlung

Normal-
versorgung

homogen

Patienten

heterogen

objektiv

Outcomes

patientennah

Efficacy – Effectiveness Continuum

CMAJ

ANALYSIS

A pragmatic–explanatory continuum indicator summary (PRECIS): a tool to help trial designers

Kevin E. Thorpe MMath, Merrick Zwarenstein MD MSc, Andrew D. Oxman MD, Shaun Treweek BSc PhD, Curt D. Furberg MD PhD, Douglas G. Altman DSc, Sean Tunis MD MSc, Eduardo Bergel PhD, Ian Harvey MB PhD, David J. Magid MD MPH, Kalipso Chalkidou MD PhD

Published at www.cmaj.ca on Apr. 16, 2009. An abridged version of this article appeared in the May 12 issue of *CMAJ*. This article was published simultaneously in the May 2009 issue of the *Journal of Clinical Epidemiology* (www.jclinepi.com).

CMAJ • MAY 12, 2009 • 180(10)

Patienten

- **Ein- und Ausschlusskriterien**

Intervention und Expertise

- **Flexibilität Intervention und Kontrolle**
- Expertise der Behandler

Follow up und Outcome

- Follow up Intensität
- **Outcomes**

Compliance/Adherence

- Patienten Compliance
- Behandler Adherence

Analyse

- Statistische Analyse

Efficacy – Effectiveness Kontinuum



Vergleichsgruppen

	Efficacy	Effectiveness
Einzelne Komponente (Medikament oder Akupunktur)	Plazebo/Sham-Kontrolle oder Standardtherapie (double dummy Plazebo)	Standardtherapie oder Routineversorgung
Komplexe Intervention (Medikament plus Akupunktur)	Double dummy Plazebo/ Sham-Kontrolle oder Standardtherapie (double dummy Plazebo)	Standardtherapie oder Routineversorgung als komplexe Intervention

Charakteristika für CER

1. Informiert direkt klinische Entscheidung aus der Patientenperspektive oder auf eine gesundheitspolitische Entscheidung auf der Bevölkerungsebene
2. Vergleicht mindestens zwei Therapiealternativen, die beide Potential für „best practice“ haben
3. Stellt Ergebnisse für die Gesamtpopulation und relevante Subgruppen dar
4. Misst Ergebnisparameter (Nutzen und Risiko), die relevant für Patienten sind
5. Verwendet Methoden und Datenquellen, die angemessen sind
6. In einem Setting durchgeführt, das dem gleicht, in welchem die Intervention angewendet wird oder werden soll



Effectiveness Guidance Document (EGD)

- Spezifische Information für Forscher über Studiendesign
- Ziel ist eine Balance zwischen interner Validität, Relevanz und Durchführbarkeit zu erreichen.
- Unter Einbindung von Entscheidungsträgern in einem Konsensusprozess entwickelt

www.cmtip.org

EGD Beispiele



- New Indications for Oncology Drugs
 - Devices for Local Treatment of Chronic Wounds
 - Treatment of Atrial Fibrillation
 - **Strategic Framework for CER in Oncology**
-

- Acupuncture
- Chinese Medicine
- Mind Body Medicine (MBSR)



THE INSTITUTE FOR INTEGRATIVE HEALTH

Empfehlungen für die Onkologie



- CER Studien werden dringend benötigt
- Patienten und Bevölkerung sollen involviert werden
- Es werden neue Forschungsmethoden benötigt (Register, Pragmatic Trials)
- Genomics und Personalized Medicine müssen zentral in allen Studien vorkommen
- CER Ergebnisse müssen in die klinische Praxis übertragen werden
- CER muss Nutzen und Kosten berücksichtigen

Einbindung von Entscheidungsträgern

Entscheidungsträger (Patienten, Ärzte, Krankenversicherungen, Industrie, etc.) sollten unbedingt in Identifikation von Forschungsthemen und Studienplanung eingebunden werden.

Fragen aus Patientenperspektive

Nützt es mir?

Ist es die zusätzlichen Ausgaben wert?

Ist es sicher?

Ist der Behandler gut?

⇒ **das Individuum**



Fragen aus Krankenkassenperspektive

Nützt es dem durchschnittlichen Versicherten?

Welcher Versichertengruppe hilft es?

Ist es besser als andere Therapien, oder gleich gut und kostengünstiger?

Gibt es Nebenwirkungen, ggf. Folgekosten?

Ist es spezifisch wirksam?

⇒ **die Versicherten der Krankenkasse**

Fragen aus Arzt- und Therapeutenperspektive

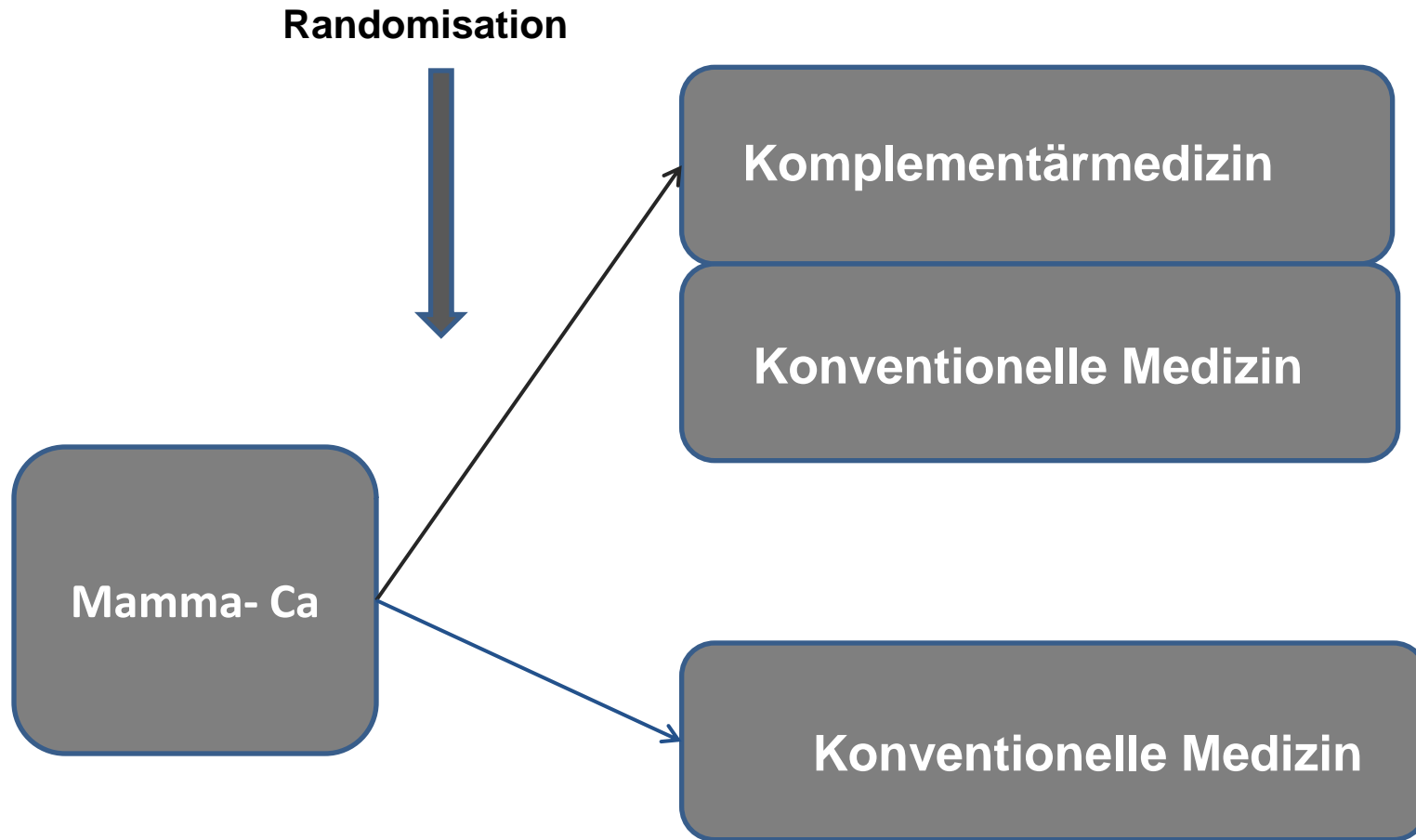
- *Nützt es dem Patienten oder einer Patientengruppe?*
- *Ist es besser als eine andere Therapie?*
- *Gibt es Nebenwirkungen oder Wechselwirkungen?*
- *Ist es spezifisch wirksam?*
- *Wie wirkt es?*

⇒ **der einzelne Patient**

⇒ **die Gesamtheit seiner Patienten**



Eine Option für CER: Pragmatic Trials



Komplementäre Onkologie bei Mamma-Ca

Evaluierung des Pilotprojekts zur
Komplementärmedizin am Krankenhaus Meran

- Pragmatische randomisierte Studie
- 280 Patientinnen
- Intervention: Routineversorgung + komplexe individualisierte komplementärmedizinische Therapie
- Kontrolle: Routineversorgung

Zusammenfassung

- Mehr CER
- CER für komplexe Interventionen
- Balance zwischen interner Validität und Relevanz
- Einbindung von Entscheidungsträgern