

Evaluation von Interventionen zur Patientenversorgung: Die grundlegenden Designs

Werner Vach

Koordinierungsstelle Versorgungsforschung
Medizinische Fakultät der Universität Freiburg

Versorgungsinterventionen als komplexe Interventionen

Versorgungsinterventionen als komplexe Interventionen

- ▶ mehrere Akteure

Versorgungsinterventionen als komplexe Interventionen

- ▶ mehrere Akteure
- ▶ mehrere Ziele

Versorgungsinterventionen als komplexe Interventionen

- ▶ mehrere Akteure
- ▶ mehrere Ziele
- ▶ mehrere Wirkmechanismen

Schritt 1: Was ist bekannt?

Schritt 1: Was ist bekannt?

- ▶ systematische Reviews

Schritt 1: Was ist bekannt?

- ▶ systematische Reviews
- ▶ Austausch mit anderen Kliniken

Was können wir über Interventionen aus bestehenden Daten lernen?

- ▶ Komplexe Interventionen sind selten schon vorhanden

Was können wir über Interventionen aus bestehenden Daten lernen?

- ▶ Komplexe Interventionen sind selten schon vorhanden
- ▶ Wirksamkeitsvergleiche / Effizienzvergleiche

Was können wir über Interventionen aus bestehenden Daten lernen?

- ▶ Komplexe Interventionen sind selten schon vorhanden
- ▶ Wirksamkeitsvergleiche / Effizienzvergleiche

Confounding Intervention - Prognose !

Was können wir über Interventionen aus bestehenden Daten lernen?

- ▶ Komplexe Interventionen sind selten schon vorhanden
- ▶ Wirksamkeitsvergleiche / Effizienzvergleiche
Confounding Intervention - Prognose !
- ▶ Nebenwirkungsprofile

Was können wir über Interventionen aus bestehenden Daten lernen?

- ▶ Komplexe Interventionen sind selten schon vorhanden
- ▶ Wirksamkeitsvergleiche / Effizienzvergleiche
Confounding Intervention - Prognose !
- ▶ Nebenwirkungsprofile
- ▶ Langzeitentwicklung

Was können wir über Interventionen aus bestehenden Daten lernen?

- ▶ Komplexe Interventionen sind selten schon vorhanden
- ▶ Wirksamkeitsvergleiche / Effizienzvergleiche
Confounding Intervention - Prognose !
- ▶ Nebenwirkungsprofile
- ▶ Langzeitentwicklung
- ▶ Prädiktoren für Interventionserfolg

Was macht eine gute Interventionsstudie aus?

Was macht eine gute Interventionsstudie aus?

- ▶ Wahl einer “optimalen” Intervention

Was macht eine gute Interventionsstudie aus?

- ▶ Wahl einer “optimalen” Intervention
- ▶ exakte Definition der Intervention

Was macht eine gute Interventionsstudie aus?

- ▶ Wahl einer “optimalen” Intervention
- ▶ exakte Definition der Intervention
- ▶ exakte Definition der Population

Was macht eine gute Interventionsstudie aus?

- ▶ Wahl einer “optimalen” Intervention
- ▶ exakte Definition der Intervention
- ▶ exakte Definition der Population
- ▶ Pilottests

Was macht eine gute Interventionsstudie aus?

- ▶ Wahl einer “optimalen” Intervention
- ▶ exakte Definition der Intervention
- ▶ exakte Definition der Population
- ▶ Pilottests
- ▶ aussagekräftiges Design zum Vergleich mit “usual care”

Was macht eine gute Interventionsstudie aus?

- ▶ Wahl einer “optimalen” Intervention
- ▶ exakte Definition der Intervention
- ▶ exakte Definition der Population
- ▶ Pilottests
- ▶ aussagekräftiges Design zum Vergleich mit “usual care”
- ▶ Messung relevanter Endpunkte

Was macht eine gute Interventionsstudie aus?

- ▶ Wahl einer “optimalen” Intervention
- ▶ exakte Definition der Intervention
- ▶ exakte Definition der Population
- ▶ Pilottests
- ▶ aussagekräftiges Design zum Vergleich mit “usual care”
- ▶ Messung relevanter Endpunkte
mit geeigneten, validen/validierten Instrumenten

Was macht eine gute Interventionsstudie aus?

- ▶ Wahl einer “optimalen” Intervention
- ▶ exakte Definition der Intervention
- ▶ exakte Definition der Population
- ▶ Pilottests
- ▶ aussagekräftiges Design zum Vergleich mit “usual care”
- ▶ Messung relevanter Endpunkte
mit geeigneten, validen/validierten Instrumenten
- ▶ ausreichende Patientenzahl

Was macht eine gute Interventionsstudie aus?

- ▶ Wahl einer “optimalen” Intervention
- ▶ exakte Definition der Intervention
- ▶ exakte Definition der Population
- ▶ Pilottests
- ▶ aussagekräftiges Design zum Vergleich mit “usual care”
- ▶ Messung relevanter Endpunkte
mit geeigneten, validen/validierten Instrumenten
- ▶ ausreichende Patientenzahl
- ▶ Publikation

Wahl der Intervention

Wahl der Intervention

- ▶ Fokusgruppen mit Patienten

Wahl der Intervention

- ▶ Fokusgruppen mit Patienten
- ▶ Fokusgruppen mit Ärzten

Wahl der Intervention

- ▶ Fokusgruppen mit Patienten
- ▶ Fokusgruppen mit Ärzten
- ▶ Fokusgruppen mit Pflegenden

Wahl der Intervention

- ▶ Fokusgruppen mit Patienten
- ▶ Fokusgruppen mit Ärzten
- ▶ Fokusgruppen mit Pflegenden
- ▶ Fokusgruppen mit ???

Definition der Intervention

Definition der Intervention

- ▶ Manuale

Definition der Intervention

- ▶ Manuale
 - ▶ Wann soll was mit wem wie oft gemacht werden?

Definition der Intervention

- ▶ Manuale
 - ▶ Wann soll was mit wem wie oft gemacht werden?
 - ▶ Welche übergeordneten Prinzipien sollen angewandt werden?

Definition der Intervention

- ▶ Manuale
 - ▶ Wann soll was mit wem wie oft gemacht werden?
 - ▶ Welche übergeordneten Prinzipien sollen angewandt werden?
 - ▶ Fallbeispiele
 - ▶ DOs and DO NOTs

Definition der Intervention

- ▶ Manuale
 - ▶ Wann soll was mit wem wie oft gemacht werden?
 - ▶ Welche übergeordneten Prinzipien sollen angewandt werden?
 - ▶ Fallbeispiele
 - ▶ DOs and DO NOTs
 - ▶ Handhabung von kritischen/unerwünschten Situationen

Definition der Intervention

- ▶ Manuale
 - ▶ Wann soll was mit wem wie oft gemacht werden?
 - ▶ Welche übergeordneten Prinzipien sollen angewandt werden?
 - ▶ Fallbeispiele
 - ▶ DOs and DO NOTs
 - ▶ Handhabung von kritischen/unerwünschten Situationen
- ▶ Training

Definition der Intervention

- ▶ Manuale
 - ▶ Wann soll was mit wem wie oft gemacht werden?
 - ▶ Welche übergeordneten Prinzipien sollen angewandt werden?
 - ▶ Fallbeispiele
 - ▶ DOs and DO NOTs
 - ▶ Handhabung von kritischen/unerwünschten Situationen
- ▶ Training
 - ▶ fachliche Voraussetzungen

Definition der Intervention

- ▶ Manuale
 - ▶ Wann soll was mit wem wie oft gemacht werden?
 - ▶ Welche übergeordneten Prinzipien sollen angewandt werden?
 - ▶ Fallbeispiele
 - ▶ DOs and DO NOTs
 - ▶ Handhabung von kritischen/unerwünschten Situationen
- ▶ Training
 - ▶ fachliche Voraussetzungen
 - ▶ Wie lange wie und mit wem geübt?

Definition der Population

Definition der Population

- ▶ Alle, für die die Intervention relevant ist / in Frage kommt

Definition der Population

- ▶ Alle, für die die Intervention relevant ist / in Frage kommt
- ▶ Patientencharakteristika und Zugangswege beschreiben!

Design

Design

- ▶ randomisierte Studie

Design

- ▶ randomisierte Studie
- ▶ clusterrandomisierte Studie

Design

- ▶ randomisierte Studie
- ▶ clusterrandomisierte Studie
- ▶ Stepped-wedge design

Design

- ▶ randomisierte Studie
- ▶ clusterrandomisierte Studie
- ▶ Stepped-wedge design
- ▶ Vorher-Nachher-Design

Design

- ▶ randomisierte Studie
- ▶ clusterrandomisierte Studie
- ▶ Stepped-wedge design
- ▶ Vorher-Nachher-Design
- ▶ unterbrochene Zeitreihe

Design

- ▶ randomisierte Studie
- ▶ clusterrandomisierte Studie
- ▶ Stepped-wedge design
- ▶ Vorher-Nachher-Design
- ▶ unterbrochene Zeitreihe
- ▶ unechtes Crossover

randomisierte Studie

randomisierte Studie

- ▶ Randomisierung auf Patientniveau

randomisierte Studie

- ▶ Randomisierung auf Patientniveau
- ▶ erfordert individualisiertes Angebot

randomisierte Studie

- ▶ Randomisierung auf Patientniveau
- ▶ erfordert individualisiertes Angebot
- ▶ erlaubt Einführung bei 50% der Patienten

cluster-randomisierte Studie

cluster-randomisierte Studie

- ▶ Randomisierung von Patientengruppen
(Hausarztpraxen, Stationen)

cluster-randomisierte Studie

- ▶ Randomisierung von Patientengruppen (Hausarztpraxen, Stationen)
- ▶ Clustereffekte müssen in der Analyse berücksichtigt werden

cluster-randomisierte Studie

- ▶ Randomisierung von Patientengruppen (Hausarztpraxen, Stationen)
- ▶ Clustereffekte müssen in der Analyse berücksichtigt werden
- ▶ erfordert höhere Patientenzahlen

cluster-randomisierte Studie

- ▶ Randomisierung von Patientengruppen (Hausarztpraxen, Stationen)
- ▶ Clustereffekte müssen in der Analyse berücksichtigt werden
- ▶ erfordert höhere Patientenzahlen
- ▶ informed consent?

stepped wedge Design

stepped wedge Design

- ▶ Randomisierter, verzögerter Beginn

stepped wedge Design

- ▶ Randomisierter, verzögerter Beginn
- ▶ Beispiel: Studie mit 8 Stationen

Monat	1	2	3	4	5	6	7	8	9	10
Station A & B			x	x	x	x	x	x	x	x
Station C & D					x	x	x	x	x	x
Station E & F							x	x	x	x
Station G & H									x	x

stepped wedge Design

- ▶ Randomisierter, verzögerter Beginn

- ▶ Beispiel: Studie mit 8 Stationen

Monat	1	2	3	4	5	6	7	8	9	10
Station A & B			x	x	x	x	x	x	x	x
Station C & D					x	x	x	x	x	x
Station E & F							x	x	x	x
Station G & H									x	x

- ▶ Idee: Jede Station ist Kontrolle für sich und die anderen

stepped wedge Design

- ▶ Randomisierter, verzögerter Beginn

- ▶ Beispiel: Studie mit 8 Stationen

Monat	1	2	3	4	5	6	7	8	9	10
Station A & B			x	x	x	x	x	x	x	x
Station C & D					x	x	x	x	x	x
Station E & F							x	x	x	x
Station G & H									x	x

- ▶ Idee: Jede Station ist Kontrolle für sich und die anderen
- ▶ Vorteil: Alle dürfen mitmachen!

Vorher-Nachher Design

Vorher-Nachher Design

- ▶ Intervention auf der Ebene einer ganzen Abteilung o.ä.

Vorher-Nachher Design

- ▶ Intervention auf der Ebene einer ganzen Abteilung o.ä.
- ▶ Für alle relevanten Patienten werden vor Beginn der Intervention die relevanten Daten erhoben

Vorher-Nachher Design

- ▶ Intervention auf der Ebene einer ganzen Abteilung o.ä.
- ▶ Für alle relevanten Patienten werden vor Beginn der Intervention die relevanten Daten erhoben
- ▶ Die Intervention wird eingeführt, bis sie “matur” ist.

Vorher-Nachher Design

- ▶ Intervention auf der Ebene einer ganzen Abteilung o.ä.
- ▶ Für alle relevanten Patienten werden vor Beginn der Intervention die relevanten Daten erhoben
- ▶ Die Intervention wird eingeführt, bis sie “matur” ist.
- ▶ Für alle relevanten Patienten werden die relevanten Daten erhoben.

Vorher-Nachher Design

- ▶ Intervention auf der Ebene einer ganzen Abteilung o.ä.
- ▶ Für alle relevanten Patienten werden vor Beginn der Intervention die relevanten Daten erhoben
- ▶ Die Intervention wird eingeführt, bis sie “matur” ist.
- ▶ Für alle relevanten Patienten werden die relevanten Daten erhoben.
- ▶ Können wir eine Veränderung feststellen?

Vorher-Nachher Design

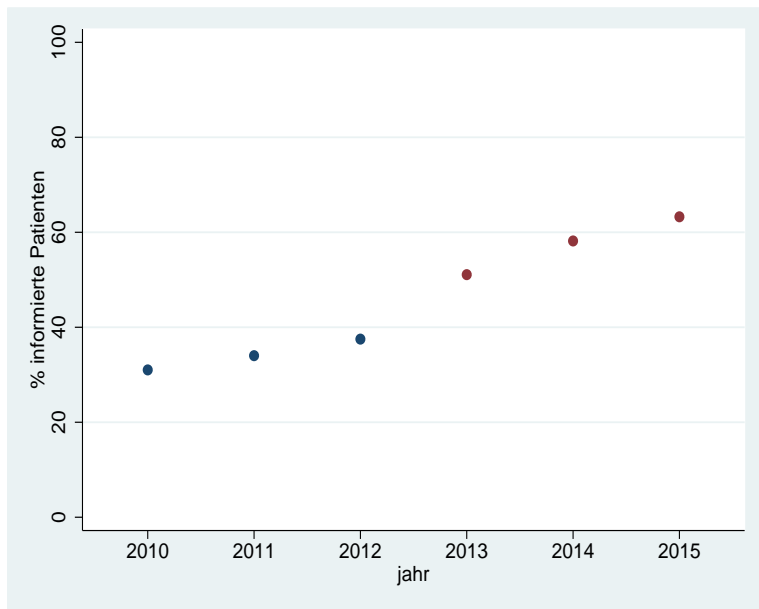
- ▶ Intervention auf der Ebene einer ganzen Abteilung o.ä.
- ▶ Für alle relevanten Patienten werden vor Beginn der Intervention die relevanten Daten erhoben
- ▶ Die Intervention wird eingeführt, bis sie “matur” ist.
- ▶ Für alle relevanten Patienten werden die relevanten Daten erhoben.
- ▶ Können wir eine Veränderung feststellen?
- ▶ Veränderung kann generellen Zeittrend widerspiegeln

Vorher-Nachher Design

- ▶ Intervention auf der Ebene einer ganzen Abteilung o.ä.
- ▶ Für alle relevanten Patienten werden vor Beginn der Intervention die relevanten Daten erhoben
- ▶ Die Intervention wird eingeführt, bis sie “matur” ist.
- ▶ Für alle relevanten Patienten werden die relevanten Daten erhoben.
- ▶ Können wir eine Veränderung feststellen?
- ▶ Veränderung kann generellen Zeittrend widerspiegeln
- ▶ Externe Veränderung kann Ergebnis verfälschen

Interrupted time-series design

Interrupted time-series design



Unechtes cross over

Unechtes cross over

- ▶ Wähle zwei sehr unterschiedliche Interventionen A und B

Unechtes cross over

- ▶ Wähle zwei sehr unterschiedliche Interventionen A und B
- ▶ Wähle zwei Endpunkte Y_A und Y_B , so dass A nicht Y_B ändert und B nicht Y_A ändert.

Unechtes cross over

- ▶ Wähle zwei sehr unterschiedliche Interventionen A und B
- ▶ Wähle zwei Endpunkte Y_A und Y_B , so dass A nicht Y_B ändert und B nicht Y_A ändert.
- ▶ Randomisiere Patienten zu A und B, und messe Y_A und Y_B .

Unechtes cross over

- ▶ Wähle zwei sehr unterschiedliche Interventionen A und B
- ▶ Wähle zwei Endpunkte Y_A und Y_B , so dass A nicht Y_B ändert und B nicht Y_A ändert.
- ▶ Randomisiere Patienten zu A und B, und messe Y_A und Y_B .
- ▶ A ist gut, wenn Y_A in Arm A größer als in Arm B ist.

Unechtes cross over

- ▶ Wähle zwei sehr unterschiedliche Interventionen A und B
- ▶ Wähle zwei Endpunkte Y_A und Y_B , so dass A nicht Y_B ändert und B nicht Y_A ändert.
- ▶ Randomisiere Patienten zu A und B, und messe Y_A und Y_B .
- ▶ A ist gut, wenn Y_A in Arm A größer als in Arm B ist.
- ▶ B ist gut, wenn Y_B in Arm B größer als in Arm A ist.

Unechtes cross over

- ▶ Wähle zwei sehr unterschiedliche Interventionen A und B
- ▶ Wähle zwei Endpunkte Y_A und Y_B , so dass A nicht Y_B ändert und B nicht Y_A ändert.
- ▶ Randomisiere Patienten zu A und B, und messe Y_A und Y_B .
- ▶ A ist gut, wenn Y_A in Arm A größer als in Arm B ist.
- ▶ B ist gut, wenn Y_B in Arm B größer als in Arm A ist.
- ▶ Beispiel:
A = Intervention zur Verstärkung der physischen Aktivität
B = Intervention zum besseren Wissen über Nebenwirkungen

Endpunkte

Endpunkte

- ▶ proximale Endpunkte: Was die Intervention kurzfristig und direkt ändern soll

Endpunkte

- ▶ proximale Endpunkte: Was die Intervention kurzfristig und direkt ändern soll
- ▶ distale Endpunkte: Was die Intervention langfristig oder indirekt ändern soll

Endpunkte

- ▶ proximale Endpunkte: Was die Intervention kurzfristig und direkt ändern soll
- ▶ distale Endpunkte: Was die Intervention langfristig oder indirekt ändern soll
- ▶ Beispiel: Aufklärung der Patienten bei Entlassung über Nebenwirkungen und mögliche Kreuzreaktionen seiner Medikamente

Endpunkte

- ▶ proximale Endpunkte: Was die Intervention kurzfristig und direkt ändern soll
- ▶ distale Endpunkte: Was die Intervention langfristig oder indirekt ändern soll
- ▶ Beispiel: Aufklärung der Patienten bei Entlassung über Nebenwirkungen und mögliche Kreuzreaktionen seiner Medikamente
 - ▶ Test des Wissens über Nebenwirkung eine Woche nach Entlassung
 - ▶ Verminderte Anzahl von unerwünschten, medikamentenbedingten Ereignissen
 - ▶ Lebensqualität
 - ▶ Überleben

Wahl des primären Endpunktes

Wahl des primären Endpunktes

- ▶ So proximal wie möglich, so distal wie nötig

Wahl des primären Endpunktes

- ▶ So proximal wie möglich, so distal wie nötig
- ▶ Effekte vielschichtig, daher composite endpoints

Nutzen, Schaden, Kosten ...

Nutzen, Schaden, Kosten ...

- ▶ Interventionen können auch schaden ...

Nutzen, Schaden, Kosten ...

- ▶ Interventionen können auch schaden ...
- ▶ Auch unliebsame Konsequenzen sollten abgefragt werden ...

Nutzen, Schaden, Kosten ...

- ▶ Interventionen können auch schaden ...
- ▶ Auch unliebsame Konsequenzen sollten abgefragt werden ...
- ▶ Lebensqualität und Zufriedenheit sollen standardmäßig als Endpunkt mitlaufen ...

Nutzen, Schaden, Kosten ...

- ▶ Interventionen können auch schaden ...
- ▶ Auch unliebsame Konsequenzen sollten abgefragt werden ...
- ▶ Lebensqualität und Zufriedenheit sollen standardmäßig als Endpunkt mitlaufen ...
- ▶ Auch nützliche Interventionen haben ihren Preis ...

Nutzen, Schaden, Kosten ...

- ▶ Interventionen können auch schaden ...
- ▶ Auch unliebsame Konsequenzen sollten abgefragt werden ...
- ▶ Lebensqualität und Zufriedenheit sollen standardmäßig als Endpunkt mitlaufen ...
- ▶ Auch nützliche Interventionen haben ihren Preis ...
- ▶ Falls die direkten Kosten unklar sind, sollten diese miterhoben werden ...

geeignete Messinstrumente

geeignete Messinstrumente

- ▶ existierende, validierte Messinstrumente, die das messen, was Sie wollen

geeignete Messinstrumente

- ▶ existierende, validierte Messinstrumente, die das messen, was Sie wollen
- ▶ sprachlich-kulturelle Adaption existierender Messinstrumente

geeignete Messinstrumente

- ▶ existierende, validierte Messinstrumente, die das messen, was Sie wollen
- ▶ sprachlich-kulturelle Adaption existierender Messinstrumente
- ▶ Zusammensetzen aus bestehenden Instrumenten

geeignete Messinstrumente

- ▶ existierende, validierte Messinstrumente, die das messen, was Sie wollen
- ▶ sprachlich-kulturelle Adaption existierender Messinstrumente
- ▶ Zusammensetzen aus bestehenden Instrumenten
- ▶ Neuentwicklung von Instrumenten + Validierung

Wie komplex soll eine Versorgungsintervention sein?

Trends:

Wie komplex soll eine Versorgungsintervention sein?

Trends:

- ▶ möglichst langfristig und nachhaltig

Wie komplex soll eine Versorgungsintervention sein?

Trends:

- ▶ möglichst langfristig und nachhaltig
- ▶ Einbeziehung von Internet, Smartphones, Tabletcomputer, SMS

Wie komplex soll eine Versorgungsintervention sein?

Trends:

- ▶ möglichst langfristig und nachhaltig
- ▶ Einbeziehung von Internet, Smartphones, Tabletcomputer, SMS
- ▶ Packages statt Komponenten

Resümee

Resümee

- ▶ versorgungsrelevante Studien werden von Politik und Gesellschaft eingefordert

Resümee

- ▶ versorgungsrelevante Studien werden von Politik und Gesellschaft eingefordert
- ▶ versorgungsrelevante Studien sind auch an einem Uniklinikum sinnvoll und möglich

Resümee

- ▶ versorgungsrelevante Studien werden von Politik und Gesellschaft eingefordert
- ▶ versorgungsrelevante Studien sind auch an einem Uniklinikum sinnvoll und möglich
- ▶ versorgungsrelevante Studien erfordern eine sorgfältige Planung und Analyse