

# **Evidenzbasierte Versorgungsempfehlungen zwischen Wissen und Annahmen**

**Heiner Raspe**

Campus Lübeck

Institut für Sozialmedizin

Herbstsymposium des IQWiG

Köln, 27./28. November 2009

# Rheumatoide Arthritis (RA)



# Cost effectiveness

Annals of Internal Medicine

EDITORIAL

## Cost-Effectiveness Information: Yes, It's Important, but Keep It Separate, Please!

*Gail R. Wilensky, PhD*  
Project HOPE  
Bethesda, MD 20814

**Potential Financial Conflicts of Interest:** *Stock ownership or options (other than mutual funds):* Cephalon, United Health Group, Gentiva, Quest Diagnostics. *Expert testimony:* cost-effectiveness analysis.

*Ann Intern Med.* 2008;148:967-968.

# Die fundamentale Annahme

Eine fundamentale Annahme des Auftrags ist, dass das, was sich zu der gestellten Frage aus der international veröffentlichten Literatur ablesen lässt, praktische Bedeutung für aktuelle und zukünftige RA-Patienten in Deutschland 2010 ff. habe, also auch mögliche Relevanz für die Identifikation einer Versorgungslücke und die Veränderung medizinischer Standards.

Diese Annahme beinhaltet verschiedenen Voraus-Setzungen.

# Sechs Voraussetzungen - Stichworte

- Ontologisches Krankheitsverständnis
- Konsequentialismus
- Realismus
- Klinische Epidemiologie
- Aggregationismus
- Dekontextualisierung

# Behauptungen

1. Es gibt die in Rede stehende Krankheit („Rheumatoide Arthritis“) und man kann ihr Patienten zuordnen.

*DOIT-ON admettre une nouvelle espèce de GOUTTE sous la dénomination de GOUTTE ASTHÉNIQUE PRIMITIVE ?*

QUESTION présentée à l'École de Médecine de Paris, le thermidor an VIII de la République française.

---

*..... Est perisi medici, quandoque nihil agere, atque alio tempore efficacissima adhibere remedia.*

SYDENHAM, sect. V, cap. VI.

---

PAR A. J. LANDRÉ-BEAUVAIS.

A PARIS,  
DE L'IMPRIMERIE DE J. A. BROSSON.

---

A N V I I I.

Abb. 1 Dissertation von A.J. Landré-Beauvais (1800)

## Die 1987 revidierten Kriterien zur **Klassifikation** einer rheumatoiden Arthritis (ACR)

1. Morgensteifigkeit an Gelenken > 60 min
2. Arthritis an 3 oder mehr Gelenkregionen
3. Arthritis der Hand-, Fingergrund- oder Fingermittelgelenke
4. Symmetrische Gelenkschwellungen
5. Rheumaknoten
6. Rheumafaktor i.S.
7. Radiologische Veränderungen

*„For classification purposes, a patient **shall be said** to have rheumatoid arthritis if he/she has satisfied at least 4 of these 7 criteria.“*

# Behauptungen

1. Es gibt die in Rede stehende Krankheit („Rheumatoide Arthritis“) und man kann ihr Patienten zuordnen.
2. Was in der (evidenzbasierten) Medizin letztlich zählt, sind Behandlungsergebnisse, sind Erfolge

# Behauptungen

1. Es gibt die in Rede stehende Krankheit („Rheumatoide Arthritis“) und man kann ihr Patienten zuordnen.
2. Was in der (evidenzbasierten) Medizin letztlich zählt, sind Behandlungsergebnisse, sind Erfolge
3. Wir können alle relevanten Behandlungsfolgen operational definieren und valide und reliabel messen.

# Behauptungen

1. Es gibt die in Rede stehende Krankheit („Rheumatoide Arthritis“) und man kann ihr Patienten zuordnen.
2. Was in der (evidenzbasierten) Medizin letztlich zählt, sind Behandlungsergebnisse, sind Erfolge
3. Wir können alle relevanten Behandlungsfolgen operational definieren und valide und reliabel messen.
4. Die Messungen bedürfen zur Vermeidung von Verzerrungen („Biases“) besonderer Versuchsanordnungen.

## „Fair tests“

„Fair tests of treatments are tests that take steps to obtain reliable information about treatment effects by reducing the misleading influences of biases and the play of chance. When the need for fair tests of treatments is ignored, people suffer and die unnecessarily.“

[www.jameslindlibrary.org](http://www.jameslindlibrary.org) (23.11.09)

**"The following are the experiments.** On the 20<sup>th</sup> of May 1747 I took twelve patients in the scurvy, on board the Salisbury at sea. The cases were as similar as I could have them. They all in general had putrid gums... They lay together in one place ... in the fore-hold; and had one diet common to them all... Two of these were ordered each a quart of cydre a-day. Two others took twenty-five gutts of elixir vitriol three times a-day... Two others took two spoonfuls of vinegar three times a-day .... Two of the worst patients ...were put under a course of sea water ... Two others had each two oranges and one lemon given to them every day... They continued but six days. The two remaining patients took the bigness of a nutmeg... of an electuary recommended by a hospital-surgeon... The consequence was that the most sudden and visible good effects were perceived from the use of oranges and lemons; one of those who had taken them being at the end of six days fit for duty ... The other was the best recovered of any in his condition... and appointed nurse to the rest of the sick."

*James Lind: A treatise of the scurvy. Edinburgh, 1753*

JAHRESTAGUNG DER AMERICAN SOCIETY OF CLINICAL ONCOLOGY

# Personalisierte Krebsmedizin – immer erfolgreicher klinisch umsetzbar

Der Therapie von Malignomen geht eine immer differenzierter werdende Diagnostik mithilfe von Tumormarkern voraus: Tagungsschwerpunkt war die personalisierte Krebstherapie. Außerdem wurden Substanzen mit neuen Wirkmechanismen vorgestellt.

## Individualisierte Medizin und EbM

„Gerade bei der personalisierten Medizin, bei der bestimmte Medikamente oft nur für kleine, schwerlich in breiten Studien erforschbare Patientengruppen die richtige Wahl seien, müssten die individuelle Expertise und Erfahrung von Ärzten und aktuelle Daten von Kongressen stärker zum Einsatz kommen dürfen.“

S. Herbert (Journalistin) vor dem Deutschen Ethikrat, 24.6.2009  
(Pressemitteilung des Rats)

# Behauptungen

1. Es gibt die in Rede stehende Krankheit („Rheumatoide Arthritis“) und man kann ihr Patienten zuordnen.
2. Was in der (evidenzbasierten) Medizin letztlich zählt, sind Behandlungsergebnisse, sind Erfolge.
3. Wir können alle relevanten Behandlungsfolgen operational definieren und valide und reliabel messen.
4. Die Messungen bedürfen zur Vermeidung von Verzerrungen („Biases“) besonderer Versuchsanordnungen.
5. Für die Schätzung der „wahren Effekte“ sind Aggregatstatistiken unverzichtbar.

# Typen von vergleichender Aggregation

	Personen	Ziele/Outcomes	Positive und negative Outcomes	Indikationen/Gruppen
Deskriptive Statistik	X			
Composite Endpoints	X	X		
Lebensqualität	X	X	X	
QALYs	X	X	X	(X)

# Behauptungen

1. Es gibt die in Rede stehende Krankheit („Rheumatoide Arthritis“) und man kann ihr Patienten zuzuordnen.
2. Was in der (evidenzbasierten) Medizin letztlich zählt, sind Behandlungsergebnisse, sind Erfolge.
3. Wir können alle relevanten Behandlungsfolgen operational definieren und valide und reliabel messen.
4. Die Messungen bedürfen zur Vermeidung von Verzerrungen („Biases“) besonderer Versuchsanordnungen.
5. Für die Schätzungen der „wahren Effekte“ sind Aggregatstatistiken unverzichtbar.
6. Für den „wahren Effekt“ einer Methode sind die psychischen und sozialen (z.T. auch biologischen) Rahmenbedingungen ihrer Anwendung irrelevant

[1214 A]

**Bekanntmachung  
eines Beschlusses  
des Gemeinsamen Bundesausschusses  
über eine Änderung der Verfahrensordnung:  
4. Kapitel – Bewertung von Arzneimitteln  
und Medizinprodukten  
Vom 16. Juli 2009**

„Die Berücksichtigung des Verhältnismäßigkeitsgrundsatzes bei der Beurteilung der Wirtschaftlichkeit einer medizinischen Maßnahme verlangt somit eine Aussage darüber, ob eine begründbare Relation zwischen Kosten und Heilerfolg der Maßnahme besteht (vgl. BSG, Urt. v. 21. November 1991, Az: 3 RK 43/89), mithin ob das Maß der die Allgemeinheit treffenden Belastung noch in einem vernünftigen Verhältnis zu den **der dem einzelnen erwachsenen Vorteilen** steht.“

# Ein Glaubensbekenntnis der EbM

- „Wir glauben an die Existenz von Krankheiten, an ihren natürlichen Verlauf und Ausgang („Outcome“) und an die Typisierbarkeit von Patienten
- und daran, dass es in der Medizin allein auf Krankheitsverläufe und Outcomes ankommt
- und dass die Medizin die Outcomes mit hinreichender Zuverlässigkeit und Gültigkeit messen und vergleichen aber nicht exakt feststellen kann
- und dass dies Messen komplizierte und täuschungssichere Versuchsanordnungen erfordert
- und dass die Ergebnisse in Aggregatstatistiken dargestellt werden müssen
- und von psychischen und soziokulturellen Faktoren weitgehend unabhängig sind.

**Ich danke Ihnen !**