HOCHSCHULE
HANNOVER
UNIVERSITY OF
APPLIED SCIENCES
AND ARTS
–
Fakultät III
Medien, Information
und Design

LaNova
Consulting s.r.o.

Register in der Versorgungsforschung

V-Prof. Dr. med. Thomas Baranek, Lehrstuhl für Methodik der medizinischen Forschung - 27. Januar 2024

Entwicklung der VF in D bis heute

1995 SVR (Sachverständigenrat Gesundheit) mahnt in seinen Gutachten aus den Jahren 1995, 1997, 2001, 2007 und zuletzt im Jahre 2009 eine Aktivierung der defizitären Versorgungsforschung in Deutschland an

2002: Beginn der **Kongressreihe** Deutscher Kongress für

2005: Versorgungsforschung („Ständige Kongresskommission“)
Der Deutsche Ärztetag beschloss ein eigenes Förderprogramm für Versorgungsforschung

2006: **Gründung des Deutschen Netzwerks Versorgungsforschung (DNVF e.V.)**

- Gründungsmitglieder: 26 medizinische & gesundheitswissenschaftliche Fachgesellschaften

Aktuell: 71 Fachgesellschaften, wissenschaftliche Institutionen

Versorgungsforschung im internationalen Vergleich ?

Bundesministerium für Bildung und Forschung

Rahmenprogramm Gesundheitsforschung der Bundesregierung

Im Unterschied zu anderen Ländern **fand in Deutschland eine systematische und wissenschaftliche Analyse des Versorgungsgeschehens** und der Patientensicherheit im Versorgungsalltag sowie der sich daraus ergebenden Fragestellungen lange Zeit **kaum statt**

Bonn, Berlin 2010

Deutschland ist im internationalen Vergleich noch ein Entwicklungsland

Allgemeine Definition

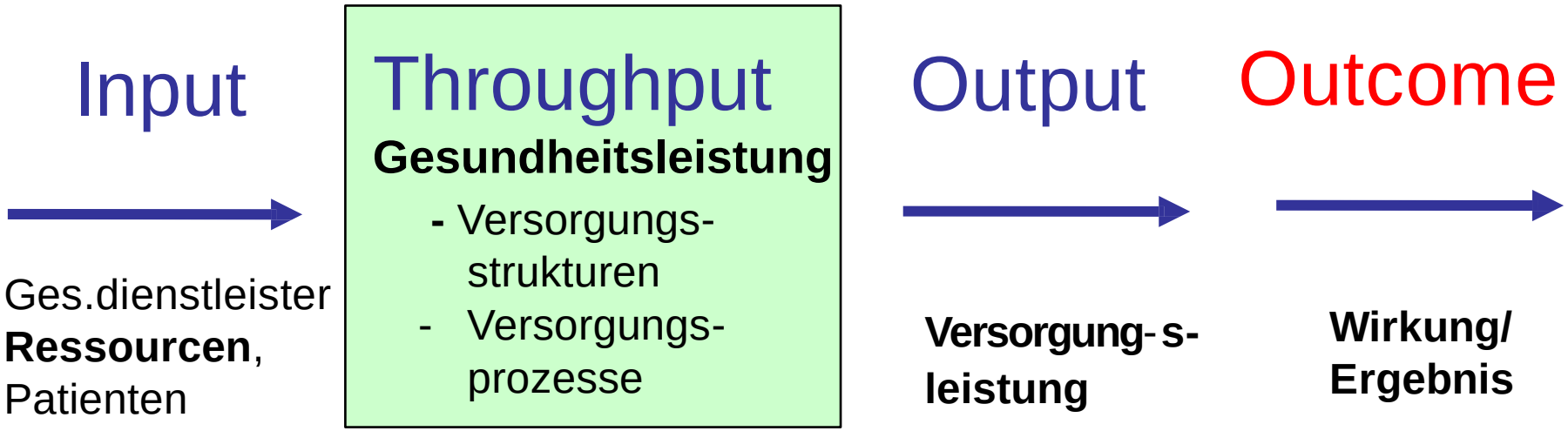
Versorgungsforschung ist …

„ein fachübergreifendes Forschungsgebiet,
das die Kranken- und Gesundheitsversorgung und
ihre Rahmenbedingungen beschreibt und kausal erklärt,

- zur Entwicklung wissenschaftlich fundierter Versorgungskonzepte beiträgt,
- die Umsetzung neuer Versorgungskonzepte begleitend erforscht und
- die Wirksamkeit von Versorgungsstrukturen und -prozessen unter Alltagsbedingungen evaluiert.“

Pfaff, H. Versorgungsforschung . Begriffsbestimmung, Gegenstand und Aufgaben. In: Pfaff H, Schrappe M, Lauterbach KW, Engelmann U, Halber M (HRSG.). Gesundheitsversorgung und Disease Management. Grundlagen und Anwendungen der Versorgungsforschung. Bern: Hans Huber 2003, S.13

Throughput-Modell der Versorgungsforschung



Angehörige von Gesundheitsberuf en, Geld, Informationen, Patienten, Bürger

Krankenhäuser, Reha-einrichtungen, Praxen, Überweisungen, Behandlungsabläufe, Gesetze, Regeln

Behandlungs-, Pflege-, Diagnose-, Beratungsleistung

Patienten-orientierte Qualität,

nach H.Pfaff (2003)

Register in der Versorgungsforschung

1. Beschreibung epidemiologischer Zusammenhänge und Unterschiede
2. Unterstützung von Qualitätssicherung und -verbesserung
3. Unterstützung klinischer Forschung
4. Evaluation und Monitoring der Patientensicherheit
5. Evaluierung der Wirksamkeit in der Versorgungsroutine und ihrer Änderung.
6. Ökonomische Evaluation
7. Mindestmengenforschung
8. Unterstützung der Versorgungsplanung
9. ……

Register in der Versorgungsforschung

1. Beschreibung epidemiologischer Zusammenhänge und Unterschiede

Epidemiologische oder bevölkerungsbezogene Register bilden….

- die wichtigste Datenbasis zur Häufigkeit, regionalen Verbreitung und zeitlichen Entwicklung bestimmter Erkrankungen in der Bevölkerung
- eine wichtige Grundlage für Aussagen zur Prävalenz, Inzidenz oder Ausbreitung und den Verlauf von Erkrankungen
- die Grundlage zur Erforschung möglicher Krankheitsursachen und die Erkrankung beeinflussende Risikofaktoren sowie
- regionale Unterschiede ab und können zeitliche Veränderungen identifizieren **www.versorgungsatlas.de**

Register in der Versorgungsforschung

2. Unterstützung von Qualitätssicherung und –verbesserung

- Auswertungen zielen darauf ab, Merkmale (Indikatoren) zu erheben und vergleichend darzustellen, die mit der Qualität der Versorgung direkt oder indirekt verbunden sind.
- Diese Vergleiche können verschiedene Einrichtungen oder Gruppen von Einrichtungen betreffen, wie auch Vergleiche über die Zeit beinhalten.
- Sie können öffentlich oder intern durchgeführt werden und erlauben Rückschlüsse auf die Differenzen in der Versorgungssituation (Behandlungsqualität, Über-, Unter- und Fehlversorgung).
- Sie können die Qualität von Diagnostik und Therapie durch Bezug auf leitliniengerechte Behandlung evaluieren.

Register in der Versorgungsforschung

3. Unterstützung klinischer Forschung

- Register unterstützen die klinische Forschung durch die Beobachtung und Evaluation der Wirksamkeit, Sicherheit und Effizienz in der Versorgungsroutine.
- Neue Annahmen können formuliert (Hypothesengenerierung) und Hinweise für die erforderliche Fallzahl einer klinischen Studie können gewonnen werden (Fallzahlplanung).
- Hybriddesigns (Registerstudien) liefern die Möglichkeit einer komplementären Ergänzung verschiedener Studientypen.

Register in der Versorgungsforschung

4. Evaluation und Monitoring der Patientensicherheit und Wirksamkeit in der Versorgungsroutine

- Evidenz zu Sicherheit von Patientengruppen, die üblicherweise nicht an klinischen Studien teilnehmen:
  - Kinder
  - Senioren
  - schwerer/leichter Erkrankte
  - Patienten mit Begleiterkrankungen / Mutimorbidität bzw. Begleitmedikationen

- Hohe Fallzahlen und lange Laufzeiten erlauben die Überwachung seltener und/oder zeitlich verzögerter Ereignisse.

- Komplikationen und/oder Arzneimittelinteraktionen sowie Produktmängel können statistisch valide und aussagekräftig erfasst werden.

Sicherheit

Schritt 4

Monitoring zur Evaluation des **Langzeitoutcomes,** nationales Audit/Datenbank, Register

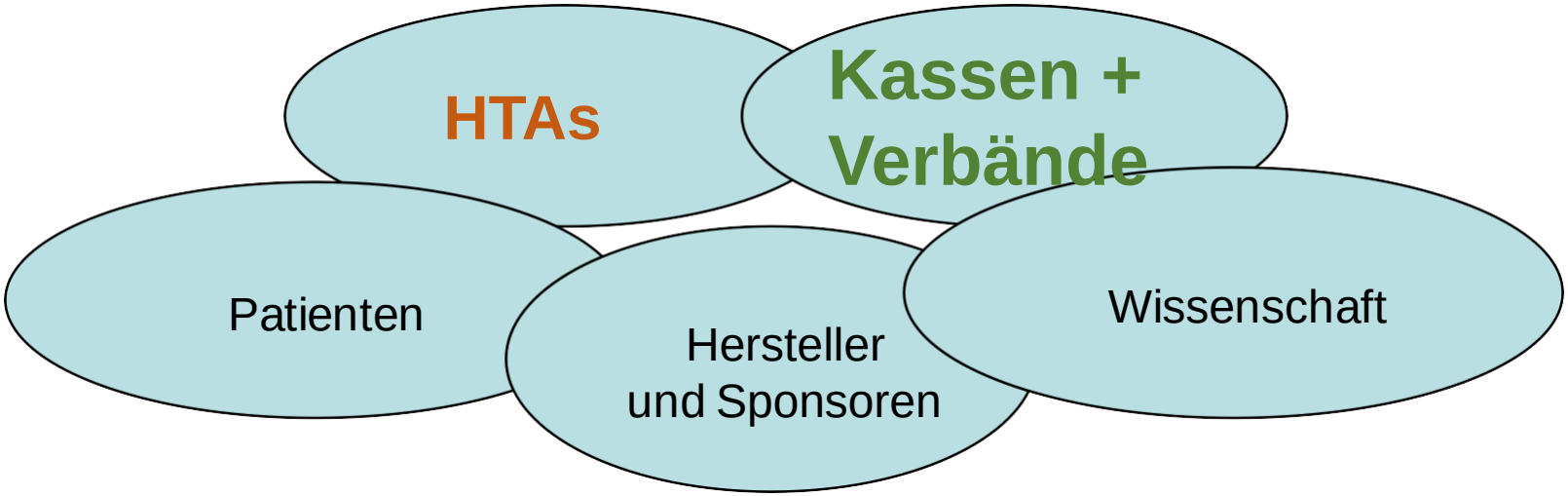
Methoden:

- Die breite klinische Einführung nach Prüfung der Efficacy sollte durch einen strukturierten systematischen Monotoringprozess begleitet werden

- Outcome: Patientenrisiken, seltene Ereignisse, Veränderungen der Technik, Effectiveness Daten

⇨ prospektives Register, weitere RCT`s, systematisches Review, HTA-bericht

Wer profitiert von Registern?



Vorteile eines Registers für die **Health Technology Assessment Zentren** (**HTAs**) – Dtld → **G-BA**

- Wissenschaftliche Evidenz auch jenseits randomisiert-kontrollierter Studien
- Abbildung der Versorgungsrealität über Sektorengrenzen hinweg auch im ambulanten Bereich (Versorgungsforschung)
- Validierung der Ergebnisse aus den Randomised Clinical Trials (RCTs)
- Identifikation von prognostisch relevanten (Erfolgs-) Faktoren und deren Gewichtung
- Basisdaten für künftige Leitlinien

Vorteile eines Registers für **Kassen und Verbände**

- Ergänzende Daten zum klinischen Erfolg (zusätzlich zu vorhandenen Kostendaten)
- Valide Darstellung der Verläufe anhand mehrerer Parameter
- Identifikation von erfolgreichen / weniger erfolgreichen Verläufen und deren Determinanten
- Bedeutung von strukturellen Voraussetzungen (Erfahrung, Schulung, Fallzahlen)
- Rückmeldung über die Qualität der Leistungserbringer
- empirische Evidenz für viele Indikationen

RCT – Randomised Clinical Trials

- Goldstandard zum Nachweis der Wirksamkeit einer Therapie
- Hohe Datenqualität mit validem Vergleich der verschiedenen Therapien

….aber

- oft mangelnde Repräsentativität des Versorgungsalltags (künstliche Situation)
- Relativ aufwendig und kostenintensiv

Register

- Nahezu komplettes Bild der Gesamtpopulation
- Darstellung der Effektivität im Versorgungsalltag
- Hohe Patientenzahl mit Basisdaten
- Heterogene Studienpopulation
- Direkter Vergleich zur Nutzenbewertung verschiedener
- Therapieformen möglich
- Mögliche Nutzung als QM-Tool für Benchmarking in Langzeitbeobachtung
- Hohe Fallzahl kann erreicht werden

Definition eines Registers

Ein Register ist eine möglichst **aktive**, **standardisierte** Datenerfassung von **Beobachtungseinheiten** zu vorab festgelegten aber erweiterbaren Fragestellungen, für die ein genauer Bezug zur **Quellpopulation** transparent darstellbar ist.

(AG Memorandum Register für die Versorgungsforschung)



Memorandum Register für die Versorgungsforschung*

Memorandum Registry for Health Services Research

Autoren D. Müller (2,3,8)[1], M. Augustin (2,8)[2], N. Banik (2)[3], W. Baumann (6)[4], K. Bestehorn (1)[5], J. Kieschke (5)[7], R. Lefering (5)[1], B. Maier (7)[7], S. Mathis (2,7)[8], S. Rustenbach (2,3,5,8,9)[2], S. Sauerland (2)[1], S. C. Semler (4,7)[9], J. Stausberg (3,4)[9,10], H. Sturm (2)[11], C. Unger(7)[6,12], A. Wiesel (1,2,8,9)[13], E. A. M. Neugebauer (1,2)[1]

www.dnvf.de

Auf die Registerqualität kommt es an

Memorandum Register für die Versorgungsforschung*

Memorandum

- Systematik und Angemessenheit eines Registers
- Standardisierung
- Validität der Stichprobengewinnung
- Validität der Datenerhebung
- Validität der statistischen Analysen und Berichte
- Übergreifende Qualitätsanforderungen

Autoren

D. Müller (2,3,8)[1], M. Augustin (2,8)[2], N. Banik (2)[3], W. Baumann (6)[4], K. Bestehorn (1)[5], J. Kieschke (5)[7], R. Lefering (5)[1], B. Maier (7)[7], S. Mathis (2,7)[8], S. Rustenbach (2,3,5,8,9)[2], S. Sauerland (2)[1], S. C. Semler (4,7)[9], J. Stausberg (3,4)[9,10], H. Sturm (2)[11], C. Unger(7)[6,12], A. Wiesel (1,2,8,9)[13], E. A. M. Neugebauer (1,2)[1]

www.dnvf.de

Ist Zustand: Register

- Große Zahl qualitativ heterogener medizinischer Register, unterschiedliche Ziele und Konzepte, in der Regel singulär aufgebaut und betrieben
- Meist rein epidemiologisch entworfen und erlauben wegen ihrer Anonymisierung lediglich festzustellen, wie viele Patienten einer bestimmten Erkrankung erfasst wurden
- Nutzung in der Praxis nur in geringem Umfang

GARY-Register – Katheterunterstützte Herzklappenintervention vs. chirurgischer Klappenersatz

2- Distribution of registries by coverage

COVERAGE	NUMBER OF REGISTRIES
REGIONAL	54
NATIONAL	324
EUROPEAN	37
GLOBAL	27
NOT DEFINED	2
TOTAL	444

www.orpha.net

Nationales Register laparoskopische Leberchirurgie

Deutsche Gesellschaft für Allgemein- und Viszeralchirurgie

Das chirurgische Ablationsregister

im

Kompetenznetz Vorhofflimmern

The German NOTES Registry

Registry for Natural Orifice Translumenal Endoscopic Surgery

Krebsregister

TraumaRegister DGU®

DEUTSCHE GESELLSCHAFT FÜR UNFALLCHIRURGIE

Register methodisch wie systematisch qualifizieren

- **Indikationsoffenes Register einrichten**
- Alle relevanten Nutzergruppen (Leistungserbringer, Industrie, Versorgungsforschung und Kostenträger) frühzeitig in den Prozess **einbinden**
- Nationale Akteure europäisch sowie **international vernetzen**
  → internationales Benchmarking vorantreiben.
- Geeignete **Methodik** zur systematischen Auswertung von Registerdaten für die verschiedenen Nutzungszwecke zu entwickeln.

Registry-Embedded Clinical Trials (RECT`s) etablieren

- RCTs & Registerdaten bilden zwei komplementäre Ansätze zur Qualitäts-sicherung und Nutzenbewertung
  → jeweilige Vorteile synergetisch nutzen

- Parallele Durchführung ermöglicht Aussagen zu Efficacy und Effectiveness

- Möglichkeit zur Verzahnung mehrerer klinischer Studien ungeachtet unterschiedl. Startzeitpunkte, Evidenzniveaus und Wahl des Komparators

- Kopplung von RCTs und Registern ermöglicht die Validierung von Surrogat-parametern und bietet ein Potenzial, Innovationsprozesse zu beschleunigen.

- **RECT`s für die Nutzenbewertung methodisch geeignet qualifizieren:**
  - Konzeption,
  - Implementierung,
  - Betrieb,
  - Monitoring,
  - Auswertung
  - Validierung

Exkurs: ABDe – Anwendungsbegleitende Datenerhebung I

- Bei einigen neuen Arzneimitteln sind die Studiendaten zum Zeitpunkt der Zulassung für die Bewertung des Nutzens und Zusatznutzens **(AMNOG)** nur wenig aussagekräftig.

- In diesen Fällen kann der **G-BA** vom pharmazeutischen Unternehmer (**PU**) verlangen, dass während der Behandlung mit diesem Arzneimittel in der täglichen Praxis Daten gesammelt werden.

- Diese sogenannte **anwendungsbegleitende Datenerhebung** soll helfen, mehr über den Nutzen und Schaden des neuen Arzneimittels herauszufinden.

- Mit der **anwendungsbegleitenden Datenerhebung sollen zwei Ziele verfolgt werden**:

  1) Patientinnen und Patienten steht das Arzneimittel schnell zur Verfügung, auch wenn bei der Zulassung und zum Zeitpunkt der ersten frühen Nutzenbewertung nicht ausreichend Informationen zum Nutzen und Schaden bekannt sind.

  2) Gleichzeitig wird der pharmazeutische Unternehmer verpflichtet, eine bessere Datenlage zu erzielen.

Exkurs: ABDe – Anwendungsbegleitende Datenerhebung II

Wirkstoff	Indikation	Beginn des Verfahrens	Status
Brexucabtagen-Autoleucel	Mantelzelllymphom	07.10.2021	Anwendungsbegleitende Datenerhebung gefordert
Brexucabtagen-Autoleucel	B-Zell-Vorläufer akute lymphatische Leukämie	03.11.2022	Verfahren eingeleitet
Etranacogene Dezaparvovec	Hämophilie B	04.08.2022	Verfahren eingeleitet
Fedratinib	Myelofibrose	21.10.2021	Anwendungsbegleitende Datenerhebung gefordert
Onasemnogen-Abeparvovec	Spinale Muskelatrophie	16.07.2020	Datenerhebung laufend
Risdiplam	Spinale Muskelatrophie	07.10.2021	Anwendungsbegleitende Datenerhebung gefordert
Valoctocogen Roxaparvovec	Hämophilie A	03.02.2022	Anwendungsbegleitende Datenerhebung gefordert

Exkurs: ABDe – Anwendungsbegleitende Datenerhebung III

Schwerpunkt

Datenmanagement

Anwendungsbegleitende Datenerhebung [ABDe] – eine kritische Zwischenbilanz

- Bei einigen neuen Arzneimitteln sind die Studiendaten zum Zeitpunkt der Zulassung für die Bewertung des Nutzens und Zusatznutzens nur wenig aussagekräftig.
- Der G-BA kann vom pharmazeutischen Unternehmer verlangen, dass während der Behandlung mit diesem Arzneimittel in der täglichen Praxis Daten gesammelt werden.
- Diese sogenannte anwendungsbegleitende Datenerhebung (ABDe) soll helfen, mehr über den Nutzen und Schaden des neuen Arzneimittels herauszufinden.
- Die ersten Verfahren machen deutlich, dass die praktische Durchführbarkeit besondere Herausforderungen mit sich bringen, sodass es in den Abläufen noch Verbesserungspotenziale gibt.

licht (SGB V § 35a Absatz 3b). Somit hat der G-BA nun die Möglichkeit, Verfahren zu anwendungsbegleitenden Datenerhebungen (ABDe) für bestimmte Arzneimittel einzuleiten. Stand jetzt – März 2023 – hat er bereits für sieben Arzneimittel ein Verfahren zur Prüfung gestartet und für fünf davon eine ABDe gefordert. In zwei weiteren Fällen entschied sich das G-BA Plenum gegen eine Verfahrenseinleitung.

Mit der anwendungsbegleitenden Datenerhebung sollen zwei Ziele verfolgt werden:

1) Patientinnen und Patienten steht das Arzneimittel schnell zur Verfügung, auch wenn bei der Zulassung und zum Zeitpunkt der ersten frühen Nutzenbewertung nicht ausreichend Informationen zum Nutzen und Schaden bekannt sind.
2) Gleichzeitig wird der pharmazeutische Unternehmer verpflichtet, eine bessere Datenlage zu erzielen.

So können dank der Daten aus der Versorgungspraxis

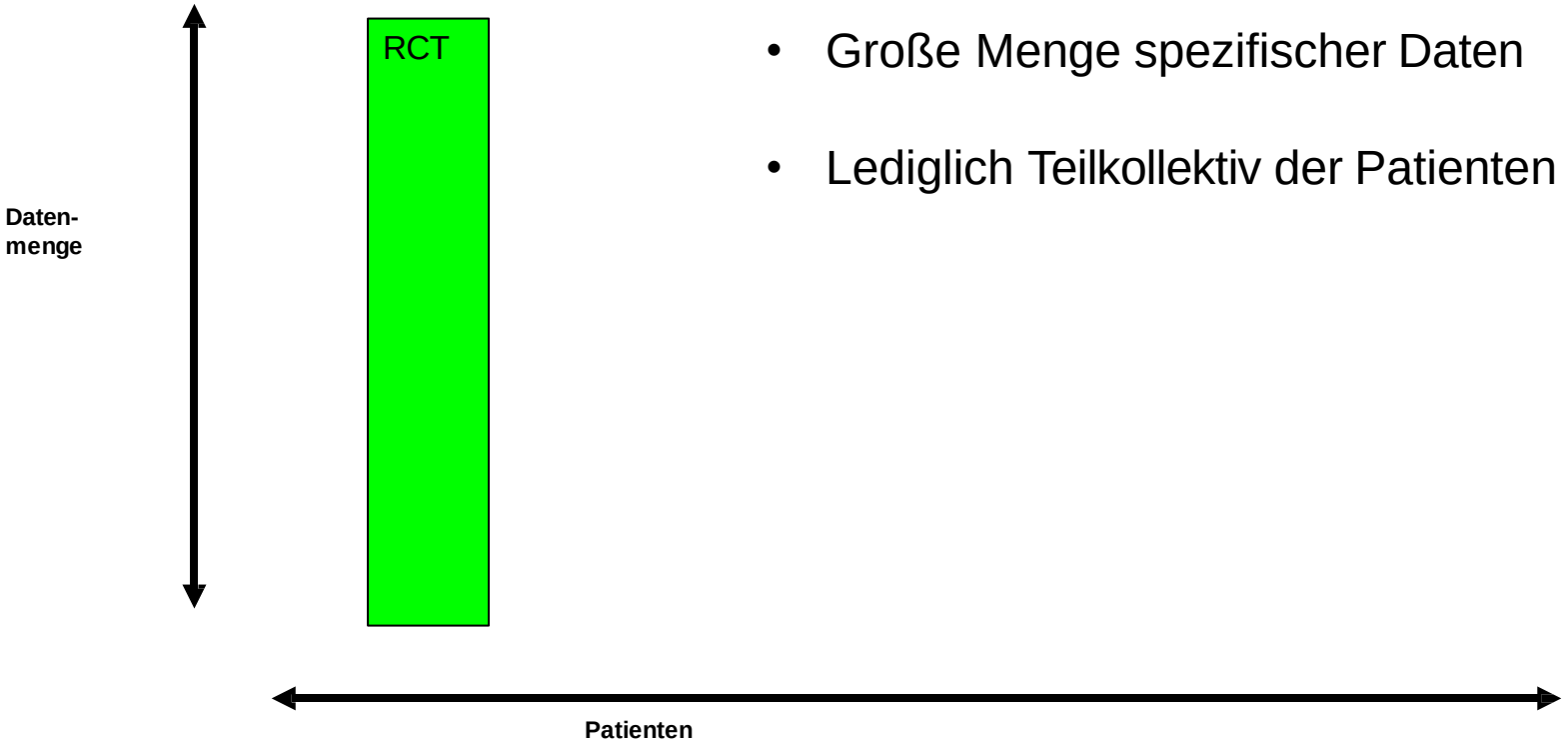


Thomas Baranek ist seit 1998 in verschiedensten Funktionen in der medizinsch/klinischen Forschung tätig, u.a. CMO der LaNova Consulting, einem Forschungs- & Beratungsunternehmen mit Sitz in Tschechien.
tbaranek@lanova.eu

Klinische Studie vs. Register

	Klinische Studie	Register
Patienten	wenige, Auswahl homogen	viele; nicht selektiert; repräsentativ
Einwilligung	erforderlich	nein, anonym
Intervention	Randomisierte Zuteilung	kein Einfluss, reine Observation
Daten	ausführliche Dokumentation; spezifisch	Wenige, aber reliable Daten
Vergleichbarkeit	Optimal bei Randomisierung	nicht zwangsläufig gegeben; Adjustierung erforderlich !
Validität	Intern hoch	Extern hoch

Klinische Studie vs. Register

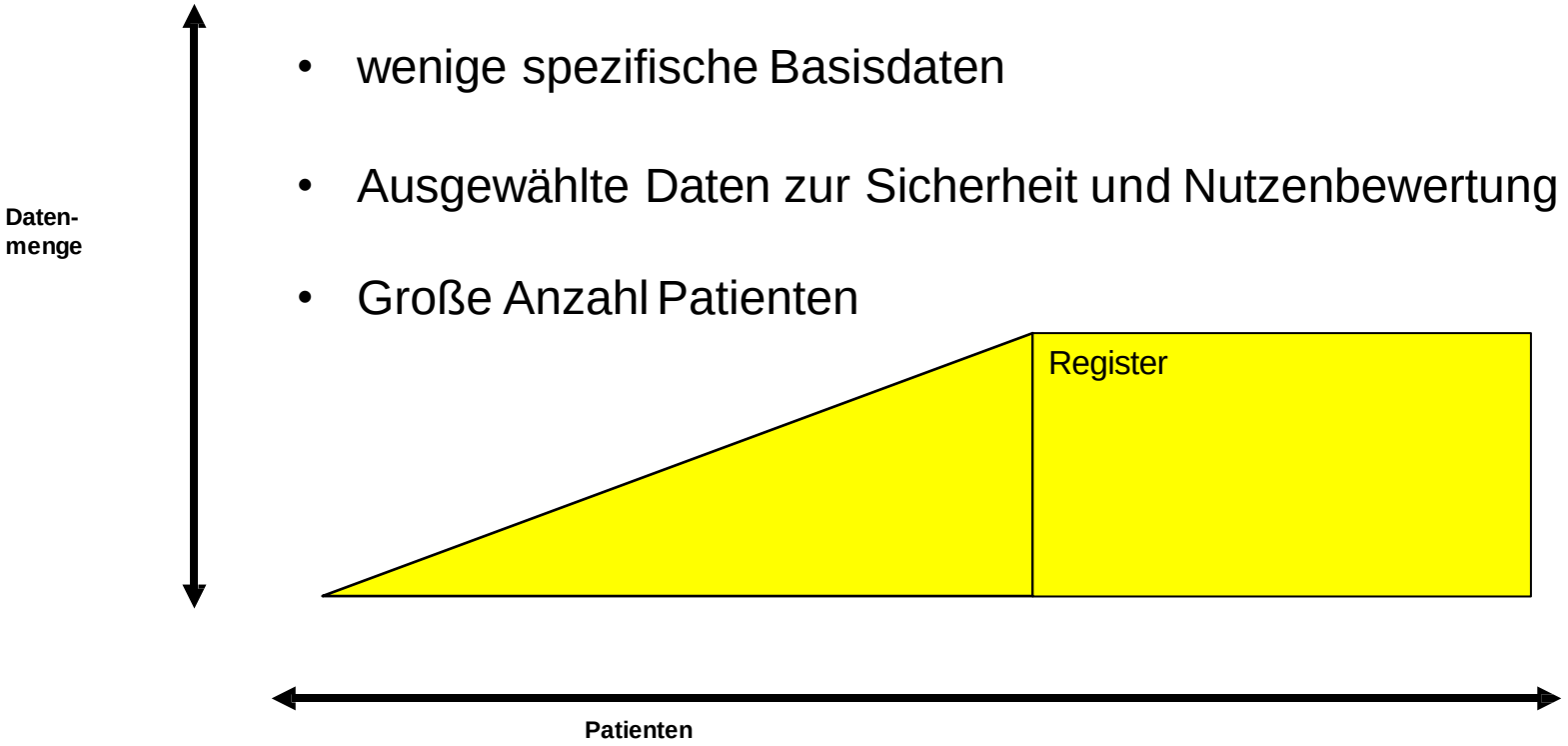


- Große Menge spezifischer Daten
- Lediglich Teilkollektiv der Patienten

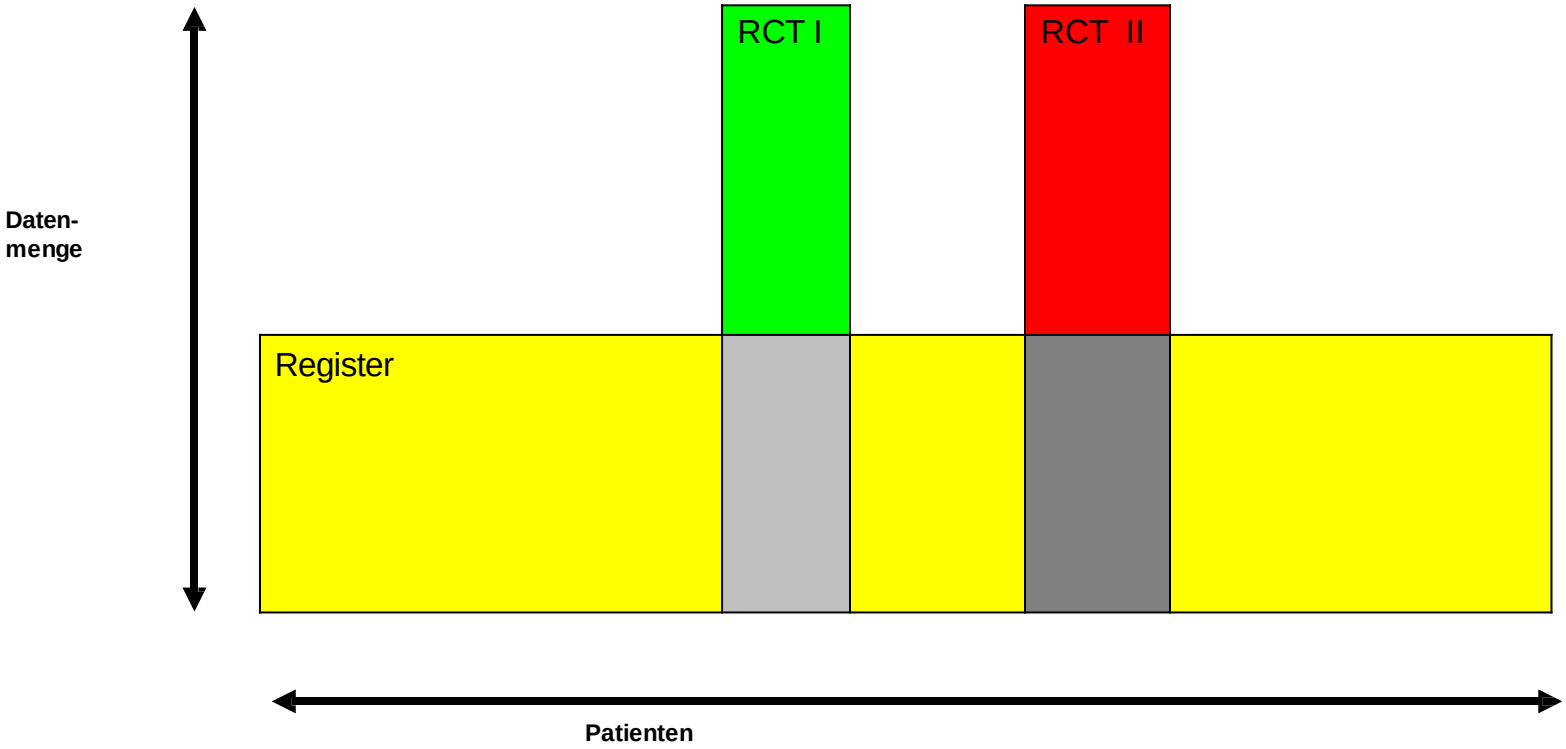
Patientenzahl und Datenmenge in randomisierten-klinischen Studien (**R**andomized **C**ontrolled **T**rials) und Registern

Klinische Studie vs. Register

- wenige spezifische Basisdaten
- Ausgewählte Daten zur Sicherheit und Nutzenbewertung
- Große Anzahl Patienten



Zukunft : “Registry – Embedded RCT“



Patientenzahl und Datenmenge in randomisierten-klinischen Studien (**R**andomized **C**ontrolled **T**rials) und Registern

Beispiel: RCT und Register zur Klärung der vorliegenden Fragen

Fragestellung	Register	RCT
Unterscheidet sich die ambulante und stationäre Behandlung definierter Wundtypen?	++	-
Mit welcher Prävalenz herrschen verschiedene Wundtypen vor?	++	-
Wie verhalten sich Effizienz und Effektivität der V.A.C.-Therapie im Vergleich zur konventionellen Wundbehandlung bei definierten Wundtypen? (VAC: vacuum assisted closure therapy)	Effektivität ++	Effizienz ++
Wie hoch sind die Einzelkosten der Therapie?	+	+
Wie viele und welche Komplikationen treten auf?	++	+
Wie lange dauert die ambulante/stationäre Behandlung?	++	+
Wie entscheidend ist die Qualifikation des Behandelnden?	++	-
Wie lange ist die „Time to closure“?	+	+
Wie ist der Einfluss der Co-Morbidität?	++	0
Wandelt sich die Therapie definierter Wunden im zeitlichen Verlauf?	+	-

Mehrgewinn durch kombiniertes Vorgehen

- Integration einer/mehrerer RCTs in Wundregister schafft Daten zu Wirksamkeit UND Nutzen/Anwendbarkeit im Versorgungsalltag
- Repräsentativität der RCT-Population kann überprüft werden
- Gescreente, aber nicht eingeschlossene Patienten können parallel im Register erfasstwerden
- Mehraufwand wird durch optimierten Erkenntnisgewinn gerechtfertigt
- Breite Population mit Vielzahl an Fragestellungen durch Register deskriptiv und statistisch durch Gruppenvergleiche zu beantworten
- Register als Ausgangsbasis für weitere RCTs

Datenqualität und Transparenz von Registern sicherstellen I

- die Unabhängigkeit, Qualität, Vollständigkeit und Nachhaltigkeit von Registern muss gewährleistet sein

- Bei gesetzlich nichtverbindlichen Registern
  - Rechtsrahmen durch Gesetzgeber nötig (Datenschutz, Modelle zur anteiligen Finanzierung durch Kassen, Leistungserbringer und Hersteller)

- Vollständige Erfassung aller betroffenen Patienten auf der Bevölkerungsebene geht nur durch verbindliche Teilnahme der Leistungserbringer und aktive Beteiligung der Kostenträger (Kopplung der Registerführung an die Vergütung)

- Bewertung von Registerdaten und Registerführung durch Einrichtung einer Clearing-Stelle nach internationalem Vorbild (z.B. Schweden)
  - Verknüpfung mit internationalen Registern anstreben

Datenqualität und Transparenz von Registern sicherstellen II

- Versorgungsbedarfe und Qualitätsunterschiede im Gesundheitssystem durch Verknüpfung von Produktregistern und Sekundärdaten offenlegen

- Möglichkeiten suchen, Daten aus Produktregistern mit vorhandenen sektorübergreifenden Routinedaten generell
  - aber auch produktbezogen zu verknüpfen und entsprechend auszuwerten

- Ableitung von alltagsorientierten Informationen zu Versorgungsbedarfen, intersektoriellen Vergleichen von Diagnose- und Therapieformen möglich

Zusammenfassung ---Register

Versorgungsrealität:

- Patientencharakteristika
- Schweregrade
- Diagnose-/Therapieverhalten
- Outcome
- Kosten

Qualitätssicherung:

- Klinikvergleiche
- Prozessqualität
- Strukturunterschiede

Maßnahmen-Evaluation:

- Therapien
- Diagnostika

Methodik:

- Subgruppen-Analysen
- Matched-Pairs
- Adjustierung

  z.B. Schweregrad, Versorgung

- Propensity Score

Störfaktoren loswerden

- **Randomisierung:**
  - Die Effekte von Studienteilnehmern werden minimiert, da sich die Störfaktoren dann zufällig über die Population verteilen (sofern diese groß genug ist).

- **Einschluss- und Ausschlusskriterien:**
  - z.B. Raucher aus einer Studie ausgeschließen oder nur bestimmte Altersgruppen eingeschlossen werden.

- **Matching:**
  - z.B. Alter und Geschlecht als Störfaktoren, kommt das Matching in Betracht. Hier wird z.B. ein 45-jähriger Mann der Versuchsgruppe 1 mit einem 45-jährigen Mann der Versuchsgruppe 2 verglichen.

- **Adjustieren:**
  - Wenn o.g. Methoden nicht infrage kommen, da es z.B. eine retrospektive Analyse handelt, kann auch adjustiert werden. Hierbei werden zum Beispiel multivariate Analyseverfahren oder eine Stratifizierung angewendet, um Störfaktoren herauszurechnen (Beispiel „altersadjustierte“ oder „geschlechtsadjustierte“ Ergebnisse).

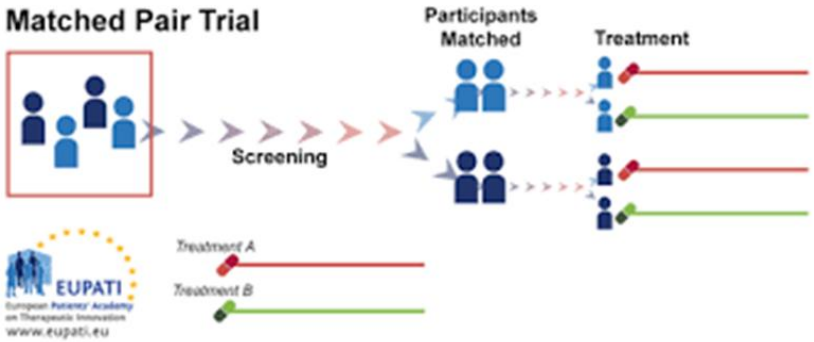
Störfaktoren loswerden – Matched Pair

Vergleich

45-jähriger Mann der
Versuchsgruppe 1

- mit einem

45-jährigen Mann
der Versuchsgruppe 2

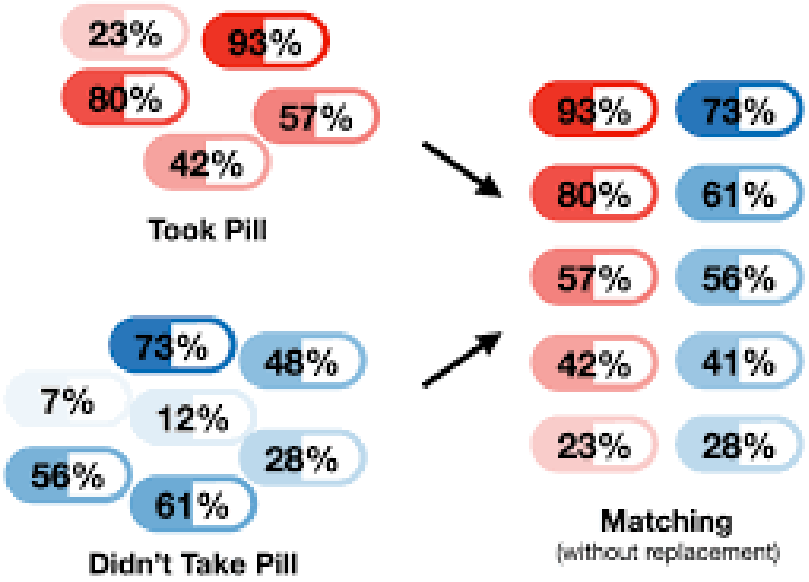


Störfaktoren loswerden – Prosentity Score (PS)

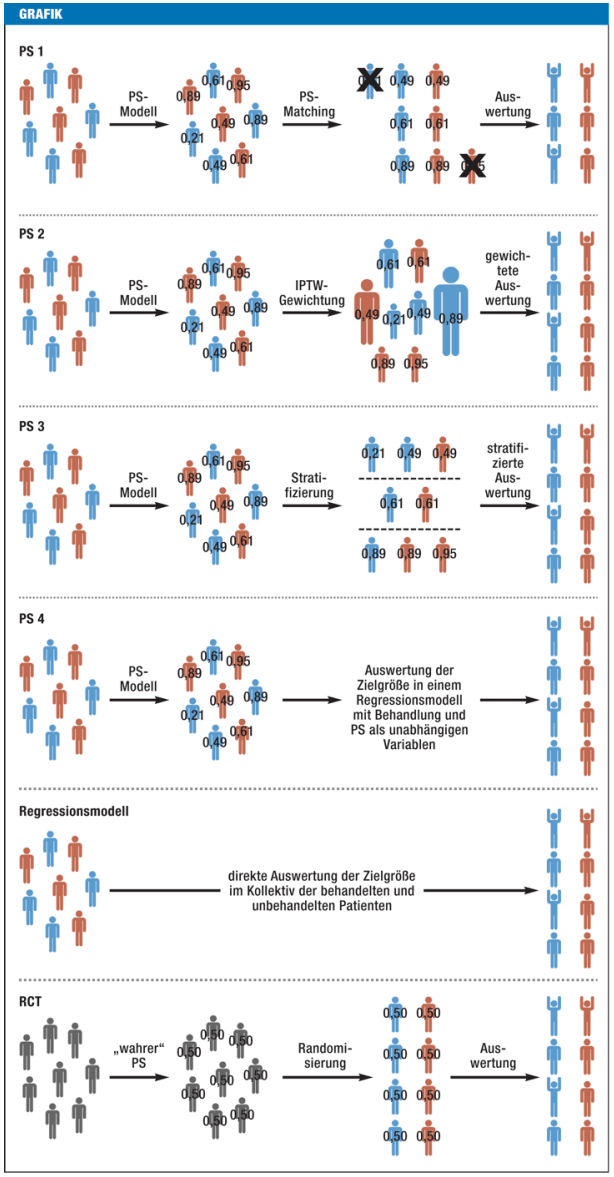
- Ist definiert als **die Wahrscheinlichkeit**, mit der ein Patient die zu prüfende Therapie erhält.

- PS wird in einem **1. Schritt** aus den vorhandenen Daten geschätzt, beispielsweise in einem logistischen Regressionsmodell.

- Im **2. Schritt** erfolgt die Schätzung des eigentlich interessierenden Therapieeffekts unter Zuhilfenahme des PS.



Prosensity Score



Durchführung einer PS-Analyse im Vergleich zu einer herkömmlichen Regressionsanalyse und einer randomisierten kontrollierten Studie

Die Abkürzungen PS 1–PS 4 stehen für die vier Methoden zur Berücksichtigung des Propensity Scores (PS):
PS 1 = PS-Matching,
PS 2 = „inverse probability of treatment weighting"(IPTW)-Schätzung,
PS 3 = Stratifizierung und
PS 4 = Regressionsadjustierung für den PS.

Am Beginn jeder PS-Analyse steht eine Gruppe von Patienten, die mit der interessierenden Intervention behandelt (rot) oder nicht behandelt (blau) wurden. Mit Hilfe der vorliegenden Patientenmerkmale wird ein PS-Modell geschätzt und für jeden Patienten der Propensity Score berechnet (in der Grafik als Zahlenwerte bei den Piktogrammen). Entsprechend der jeweiligen PS-Methode werden Patienten dann gematcht (PS 1, in der Regel werden Patienten ausgeschlossen, für die kein Matching-Partner gefunden worden ist; sie sind mit einem X gekennzeichnet), in Abhängigkeit von ihrem PS gewichtet (PS 2, Patienten mit höherem IPTW-Gewicht sind in der Grafik größer dargestellt), stratifiziert (PS 3, hier in Terzilen), oder es wird (PS 4) eine Regressionsanalyse unter Berücksichtigung des PS durchgeführt. Entsprechend der PS-Methode werden die klinischen Zielgrößen ausgewertet.
(In der Grafik sind geheilte Patienten der Einfachheit halber in einer Jubelpose dargestellt.)

In einem herkömmlichen Regressionsmodell wird dagegen ein einziges statistisches Modell berechnet, in das die klinische Zielgröße als abhängige Variable, die Therapie und die anderen Patientenmerkmale als unabhängige Variablen eingehen.

Die Ähnlichkeit zwischen einer randomisierten kontrollierten Studie (RCT, „randomised controlled trial") und einer PS-Analyse wird im unteren Teil der Grafik verdeutlicht: Zu Beginn sind die Patienten in einer RCT noch unbehandelt (grau) und ihr PS (also die Wahrscheinlichkeit, die Intervention zu erhalten) ist bekannt und gleich 0,5. Bei der Randomisierung wird jedem Patienten eine Therapie zugeteilt, so dass wie beim PS je eine Gruppe von behandelten und unbehandelten Patienten gebildet wird. Schließlich folgt als letzter Schritt die Auswertung der klinischen Zielgröße.

Unbehandelt
Intervention
Kontrolle

Vielen Dank
für Ihre Aufmerksamkeit

V-Prof. Dr. med. Thomas Baranek
Vertretungsprofessur des Lehrstuhls für klinische Forschung
Fakultät III, Hochschule Hannover, Deutschland

Chief Medical Officer – LaNova Consulting s.r.o.
339 Trida Dukelskych Hrdinu
36251 Jachymov, Czech Republic

Phone Reception: +420 353 540 608
Personell mobile: +420 702 042 640
Mail to: tbaranek@lanova.eu

