

Externe Validität von Studienevidenz

Prof. Dr. Jürgen Windeler

Graz - 09. März 2018

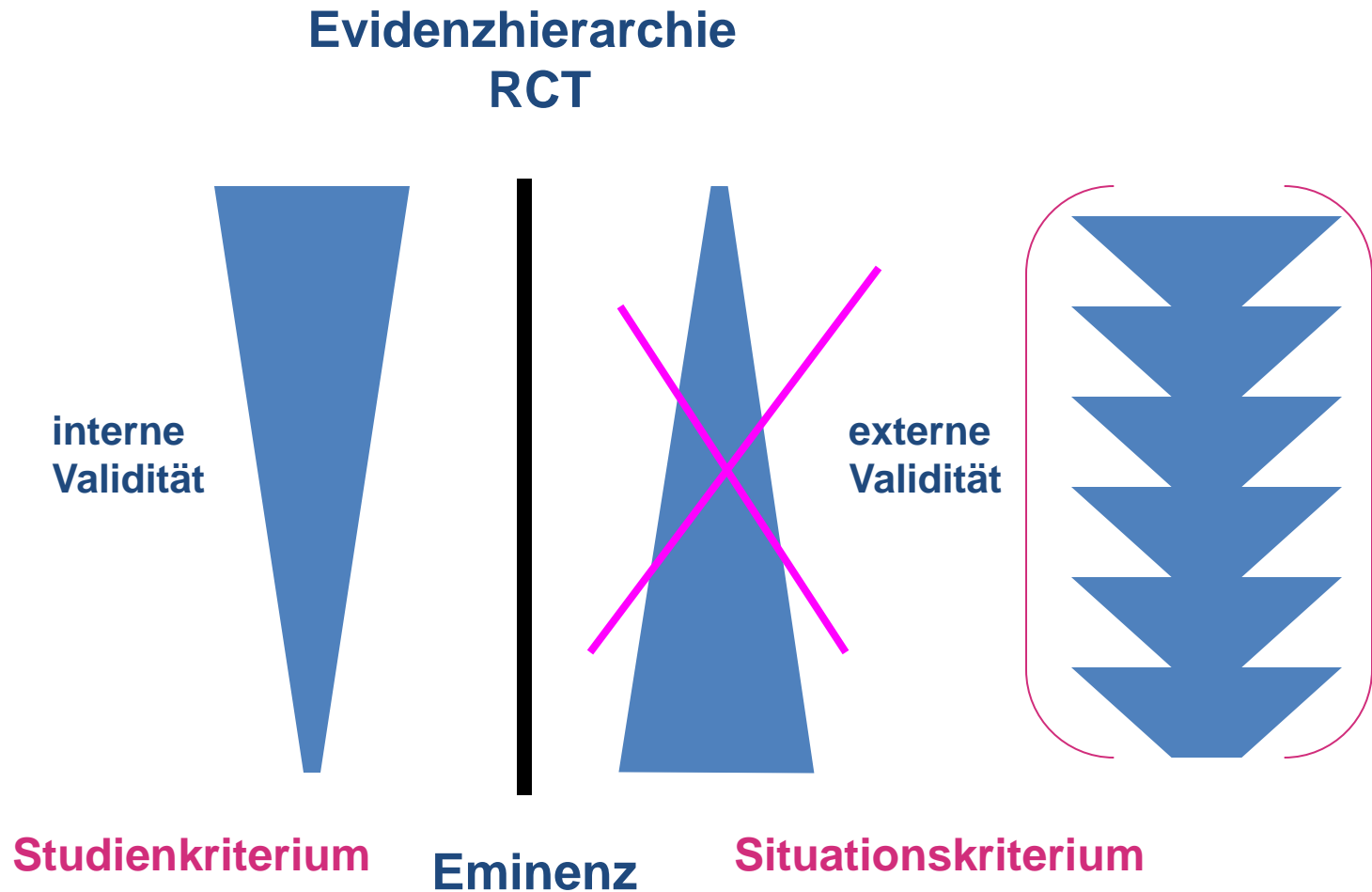
EbM-Kongress 2018 – WS Evidenzbasierte Entscheidungen in der
Rehabilitation

Leopoldina (Nat. Akademie der Wissenschaften) fordert 2015 eine „passgenauere Forschung, die den Besonderheiten und Zielen alter Patientinnen und Patienten gerecht wird“, unter anderem:

- Pragmatische Studien, die (komplexe) Interventionen mit mehreren Komponenten oder Versorgungsalgorithmen untersuchen
- Häufige Multimorbidität + Polypharmazie erfordern Erweiterung von Ein- und Ausschlusskriterien für Teilnehmer an klinischen Studien
- Neben herkömmlichen Zielgrößen/Outcomes auch funktionale Ziele wie Aktivitäten des täglichen Lebens (ADL) und Partizipation sowie Lebensqualität erfassen

- Bessere Berichtsqualität (entlang des PICO-Schemas) erforderlich
 - z.B. präzise Beschreibung der Patientengruppen inkl. Abbildung von Multimorbidität
 - z. B. Beschreibung / Manualisierung der (komplexen) Interventionen
- Größere Fallzahlen planen (hohe drop-out und missing data Raten)
- Cluster-randomisierte, multizentrische Studien
- Subgruppenanalysen zur Identifikation von Effektmodifikation
- Heterogenität der Studien reduzieren
 - z.B. durch Einigung auf Standardinstrumente für Outcome-Erhebung

interne <-> externe Validität



Real World Data (RWD) = non-RCT ?

- Ist die Evidenz von RCTs zwangsläufig „unwirklich“?
- Häufige Annahme:
 - RCT = hohe interne und niedrige externe Validität
 - RWD = niedrige interne und hohe externe Validität
- Was ist der Wert von hoher externer Validität ohne interne Validität?
- Anders gesagt: Was ist der Wert davon, einen Effekt auf eine breitere Population verallgemeinern zu können, wenn die Schätzung an sich hochgradig verzerrt ist?

→ Das Problem der Übertragbarkeit ist nicht durch schlechte Daten zu lösen !

Graessel et al. *BMC Medicine* 2011, 9:129
<http://www.biomedcentral.com/1741-7015/9/129>



RESEARCH ARTICLE

Open Access

Non-pharmacological, multicomponent group therapy in patients with degenerative dementia: a 12-month randomized, controlled trial

Elmar Graessel¹, Renate Stemmer², Birgit Eichenseer¹, Sabine Pickel¹, Carolin Donath¹, Johannes Kornhuber¹ and Katharina Luttenberger^{1*}

Studie in 5 Pflegeheimen

Die vier Bereiche der MAKS-Therapie in der Praxis

Quelle: www.maks-aktiv.de



spirituell



psychomotorisch



kognitiv



und alltagspraktisch

Conclusions: A highly standardized, non-pharmacological, multicomponent group intervention conducted in a nursing-home setting was able to postpone a decline in cognitive function in dementia patients and in their ability to carry out activities of daily living for at least 12 months.

ORIGINALARBEIT

Nichtpharmakologische Therapie bei Menschen mit kognitiven Einschränkungen

Ergebnisse der randomisierten kontrollierten German-Day-Care-Studie

Melanie Straubmeier, Elisa-Marie Behrndt, Hildegard Seidl, Dominik Özbe, Katharina Luttenberger, Elmar Gräßel

ZUSAMMENFASSUNG

Hintergrund: Zur Förderung von Menschen mit kognitiven Einschränkungen im Alter gibt es verschiedene nichtmedikamentöse Maßnahmen. Häufig werden unstrukturierte und nichtevidenzbasierte Interventionen eingesetzt. Die im Pflegeheim bereits evaluierte Mehrkomponententherapie MAKS (motorisch, alltagspraktisch, kognitiv, sozial) wird in der vorliegenden Studie in Tagespflegeeinrichtungen (TPE) untersucht.

Methode: Es wurde eine clusterrandomisierte kontrollierte, einfach verblindete Studie mit einer 6 Monate dauernden Interventionsphase durchgeführt; daran nahmen 362 Menschen mit kognitiven Einschränkungen in 32 TPE teil. Die mit multiplen Regressionsanalysen zu überprüfende Hypothese war, dass die MAKS-Therapie zu einem statistisch signifikant und klinisch relevant besseren Verlauf der kognitiven (Mini-Mental Status Examination, MMSE) und alltagspraktischen Fähigkeiten (Erlangen Test of Activities of Daily Living in Persons with Mild Dementia or Mild Cognitive Impairment, ETAM) im Vergleich zur üblichen Versorgung in der Kontrollgruppe führt. Die primäre Analyse bezog sich auf „per protocol“, er-

Schlussfolgerung: Die MAKS-Therapie erwies sich bei zu Hause lebenden Menschen mit milder kognitiver Einschränkung (MCI) bis mittelschwerer Demenz, die regelmäßig eine Tagespflegeeinrichtung besuchen, als wirksam. Die bundesweite Teilnahme von 32 TPE weist auf eine hohe externe Validität hin.



PragMagic Pragmatic Trial resources



PRAGMATIC TRIAL PAPER SERIES

A series of eight papers has been published in the *Journal of Clinical Epidemiology*. In this series we integrate the theoretical design options with the practice of conducting pragmatic trials. Each paper focuses on a specific trial area such as patient selection and recruitment or the choice of comparator. For each of these areas, we discuss the pragmatic design choices; their specific operational challenges and the impact on operational feasibility and (ethical) acceptability of the trial; as well as generalisability, validity, and precision of the trial findings.

1. Introduction - Introduction: Pragmatic trials and Real World Evidence
2. Site - Selection and inclusion of usual care sites
3. Participant - Participant eligibility, recruitment and retention
4. Informed Consent - Challenges of informed consent
5. Comparator - Questions, comparators and treatment strategies
6. Outcome - Outcome selection and measurement
7. Safety & Quality - Monitoring safety and trial conduct
8. Data - Data collection

Zusammenfassung



Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG)



Im Mediapark 8
50670 Köln

Telefon +49 221 35685-0
Telefax +49 221 35685-1

info@iqwig.de

www.iqwig.de und
www.gesundheitsinformation.de

Twitter: @iqwig und @iqwig_gi