Zitationshinweis

Stegmaier, P.: „Generierung & Auswertung versorgungsnaher Daten", in „Monitor Versorgungsforschung" (05/25), S. 30.
http://doi.org/10.24945/MVF.05.25.1866-0533.2750

Vorläufiger IQWiG-Rapid-Report zur Methodik bei der Generierung und Auswertung versorgungsnaher AbD-Daten

Generierung & Auswertung versorgungsnaher Daten

Im Januar dieses Jahres hat der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) mit einer wissenschaftlichen Ausarbeitung zur Methodik bei der Generierung und Auswertung versorgungsnaher Daten im Kontext der anwendungsbegleitenden Datenerhebung (AbD) beauftragt. Ein vorläufiger Rapid Report (1) liegt seit Ende Juli vor. Interessierte konnten bis zum 19. August schriftliche Stellungnahmen abgeben. Einen knappen Monat später, am 16. September, führte das IQWiG eine wissenschaftliche Erörterung durch.

>> Der nun vorliegende vorläufige Rapid Report des IQWiG trägt den Titel „Wissenschaftliche Ausarbeitung ausgewählter Aspekte zur Generierung versorgungsnaher Daten und deren Auswertung zum Zwecke der Nutzenbewertung von Arzneimitteln nach § 35a SGB V". In seinem Fazit schreibt das Institut, dass es für die Nutzenbewertung von Arzneimitteln Daten zum Vergleich mit dem therapeutischen Standard benötigt. Die dafür nötigen Datenerhebungen seien dabei als vergleichende Studien ohne Randomisierung durchzuführen. Das IQWiG erkennt an, dass unter Einhaltung bestimmter Qualitätsanforderungen Studien auf Basis von Registerdaten diese Erkenntnislücke schließen können.

So ist laut der Festlegung des IQWiG bei der Planung von vergleichenden Studien ohne Randomisierung auf Basis versorgungsnaher Daten die Target-Trial-Emulation ein empfohlener Ansatz, um systematische (vermeidbare) Verzerrungen zu minimieren. Voraussetzung für eine optimale Emulation einer hypothetischen RCT mittels Beobachtungsdaten sei, dass die hierfür erforderlichen Daten im Registerdatensatz mit der notwendigen Vollständigkeit und Datentiefe enthalten sind. Eine hohe Datenqualität könne in der Breite nur dann erreicht werden, wenn die Datengenerierung und die Nutzbarmachung von Registerdaten praktikabel und mit möglichst wenig Aufwand möglich sind. Als förderlich schätzt das Institut den Aufbau und den Unterhalt einer dauerhaft verfügbaren (funktionsfähigen) Dateninfrastruktur ein. Dies könnte durch pharmazeutische Unternehmer, die auf die Register zur Durchführung registerbasierter Studien zurückgreifen wollen, unterstützt werden.

Zudem ist den Ausführungen des vorläufigen Rapid Reports zufolge in vergleichenden Studien ohne Randomisierung zum Zweck des Vergleichs von Therapieeffekten für eine adäquate Confounderkontrolle eine systematische Identifikation der relevanten Confounder sowie eine Berücksichtigung dieser Confounder in der Auswertung notwendig. Die Confounderidentifikation nach dem Ansatz von Pufulete 2022 wird vom Institut als machbar eingeschätzt und stellt nach Ansicht der Reportenden ein grundsätzlich sinnvolles Vorgehen dar. Vor der Relevanzbewertung der Confounder durch klinische Expert:innen sei jedoch zu empfehlen, eine intensive Verdichtung der identifizierten Confounder vorzunehmen.

Ebenso soll in den Konzepten für eine AbD abgeschätzt werden, ob innerhalb eines akzeptablen Zeitraums ausreichend Patient:innen eingeschlossen werden können, um mit der AbD grundsätzlich aussagekräftige Ergebnisse für eine Nutzenbewertung generieren zu können. In der Regel lägen indes nur unsichere Informationen für diese Abschätzung vor. Wenn hinreichende Informationen zur Intervention und dem Komparator vorliegen, werde zu diesem Zweck eine orientierende Fallzahlschätzung durchgeführt. Fehlen notwendige Informationen für die Annahmen, die einer orientierenden Fallzahlschätzung zugrunde liegen, soll eine orientierende Betrachtung von Fallzahlszenarien erfolgen, um mögliche aufdeckbare Effekte zu zeigen. Beide Herangehensweisen sollen dabei dem gleichen Grundsatz folgen (auf identischen Parametern fußen) und sich lediglich in dem Parameter unterscheiden, der mithilfe der übrigen Parameter geschätzt werden soll. Des Weiteren rät das IQWiG:

- Für eine langfristige Datenerhebung (und Begleitung von Patientinnen und Patienten) in der Routineversorgung sind Anreize erforderlich, die den Aufwand der Datengenerierung kompensieren und sowohl die Zentren als auch die Patient:innen zur möglichst vollständigen Datenerhebung motivieren.
- Zur Sicherstellung, dass Aufwand und Nutzen bei PRO-Erhebungen in einem angemessenen Verhältnis stehen, werden digitale Befragungen (z. B. per App oder per Patientenportal) empfohlen. Auf diese Weise ist eine niedrigschwellige PRO-Erhebung unabhängig von Arztbesuchen möglich. Digitale Tools werden in Registern und in der Routineversorgung bereits erfolgreich zur Datenerhebung eingesetzt und ermöglichen, dass PRO-Daten für Forschungszwecke barrierearm zur Verfügung gestellt werden können.
- Eine Herausforderung bei der Auswertung versorgungsnaher Daten ohne Randomisierung stellt die Festlegung des Startzeitpunkts der Beobachtung (Index-Datum [t_0]) dar. Wird in beiden Behandlungsgruppen zum Beobachtungsstart (t_0) mit einer neuen Therapie begonnen (Umstellungsindikation), kann in einer Studie das ACNU-Design verwendet werden. Dabei entspricht t_0 idealerweise dem Tag der Therapieentscheidung. In einer Therapiesituation, in der Patient:innen in der Kontrollgruppe die Behandlung mit einem etablierten therapeutischen Standard fortführen, stellt das PNU-Design eine geeignete Alternative dar.
- Unabhängig von der Wahl des Designs und der Auswertungsstrategien sollte grundsätzlich immer primär das Ergebnis der ITT-Analyse (entsprechend der Treatment-Policy-Strategie) gezeigt werden. Dies erfordert, dass alle Patient:innen (unabhängig von einem Behandlungswechsel im Verlauf der Beobachtung) gemäß ihrer ursprünglichen Gruppenzuteilung ausgewertet werden. Dem verzerrenden Einfluss von Behandlungswechseln im Verlauf der AbD kann mit Sensitivitätsanalysen begegnet werden. <<

von: MVF-Chefredakteur Peter Stegmaier

Literatur:

1: https://t1p.de/a5q7f