

# Pragmatische Studien in Settings der Routineversorgung

Norbert Donner-Banzhoff

Abteilung für Allgemeinmedizin,  
Präventive und Rehabilitative Medizin

Philipps-Universität Marburg

2. Diskussionsforum zur Nutzenbewertung im  
Gesundheitswesen, 21. Oktober 2008, Berlin



# Überblick: pragmatische Studien

- Definition
- Argumente und Stellenwert
- Bedingungen und Kompetenzen

# Definition explanatorisch vs. pragmatisch

eng, homogen <sup>†</sup> , klein	<b>Stichprobe</b>	breit, heterogen, groß
1 univ. Zentrum	<b>Setting</b>	viele Routine-Zentren
phys. Messung [ $>1$ ]	<b>Zielkriterium</b>	patientenrelevant [=1]
umfassend definiert	<b>Intervention</b>	segmental
Placebo	<b>Vergleich</b>	Standard
on treatment <sup>‡</sup>	<b>Auswertung</b>	intention-to-treat
weitere Forschung	<b>Konsequenz</b>	klinische Anwendung

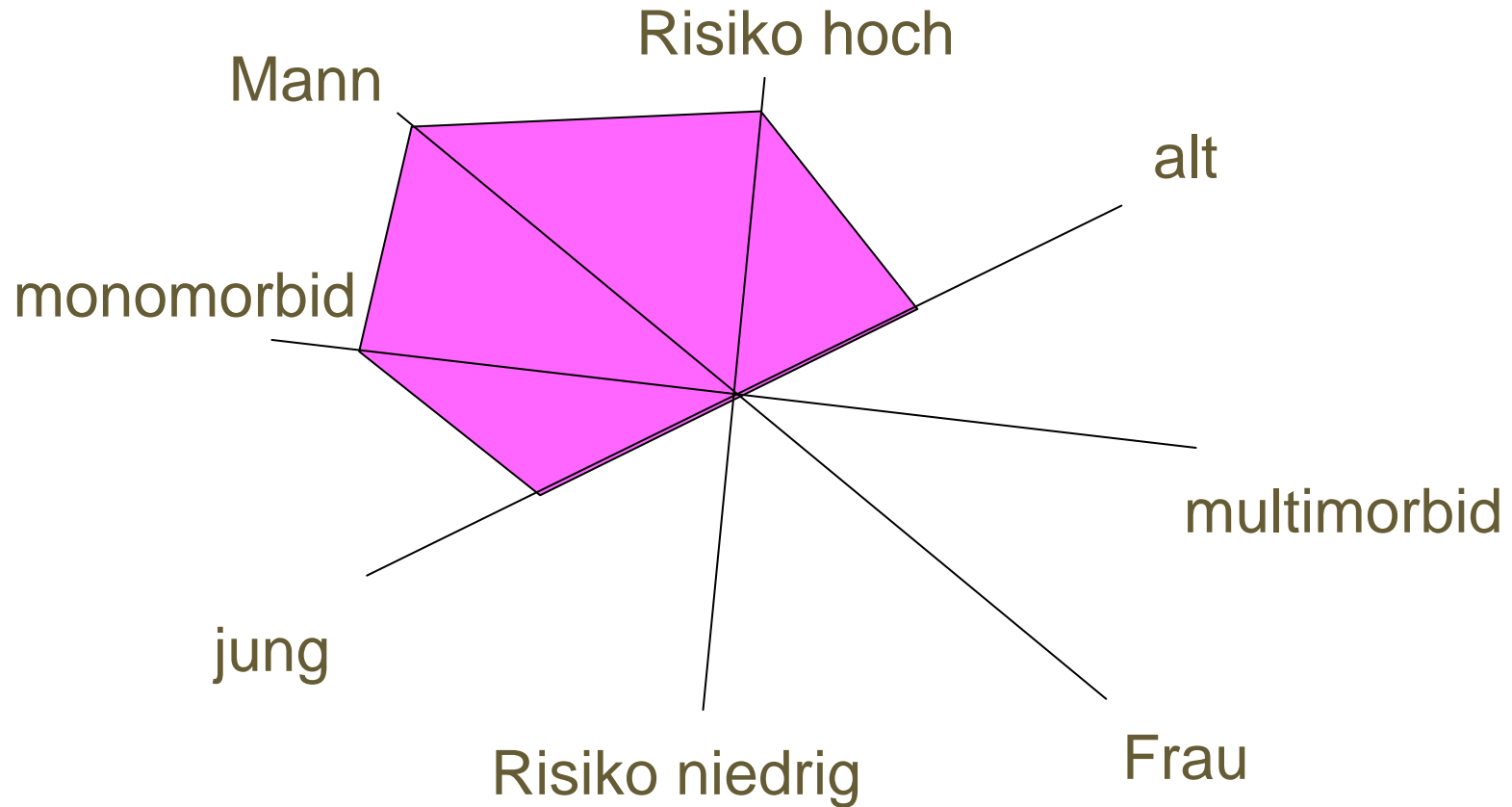
*Schwartz&Lellouch. J chron Dis 1967;20:637-48.*

# Missverständnisse

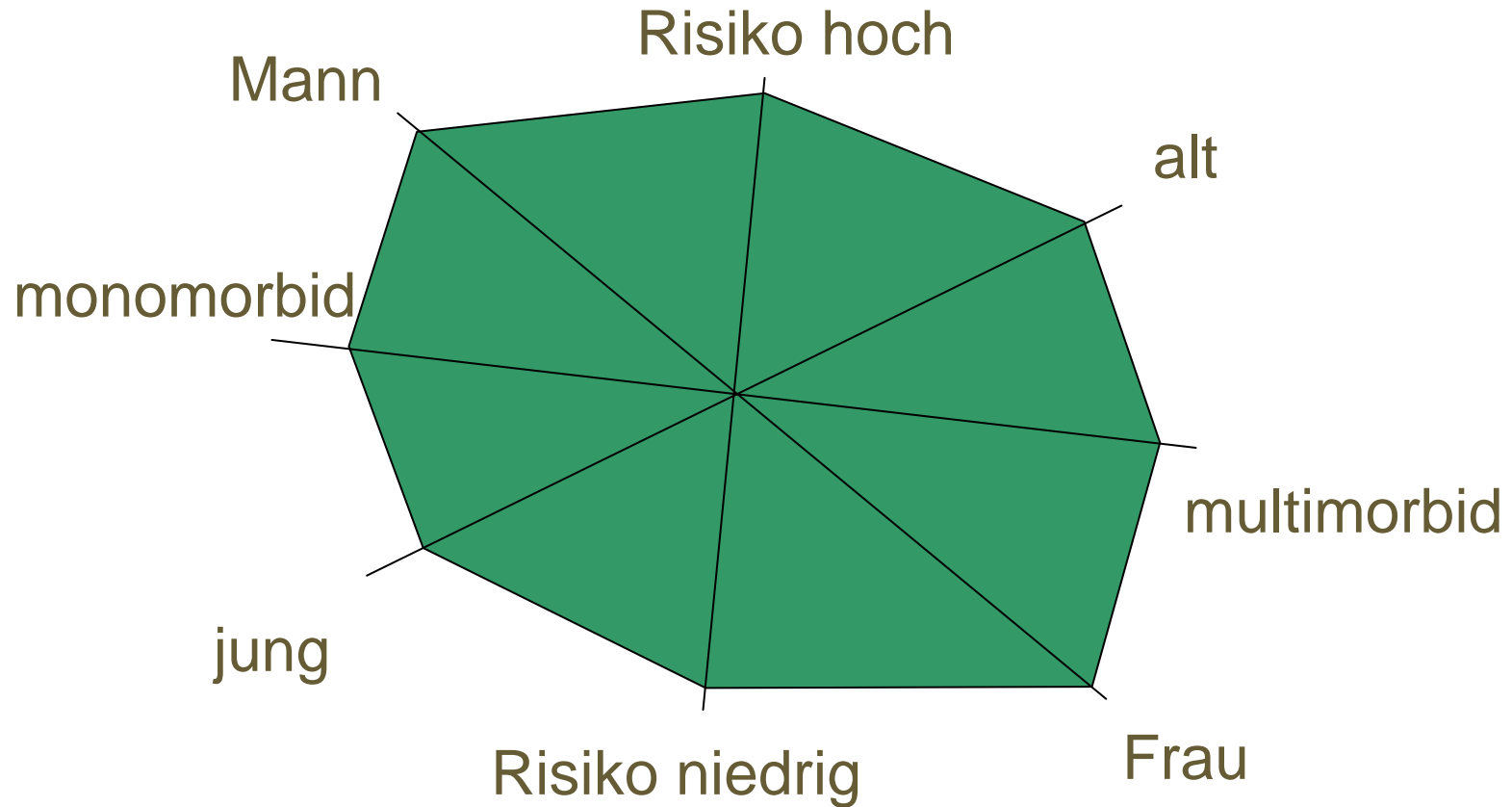
Missglückte, methodisch mangelhafte Studien werden durch das Etikett „pragmatisch“ nicht besser.

Pragmatische Studien sind randomisiert und kontrolliert.

# Einschlusskriterien und externe Validität - I



# Einschlusskriterien und externe Validität - II



# Wem helfen pragmatische Studien (I)?

Kliniker?

- wollen individualisieren
- sind begeisterungsfähig

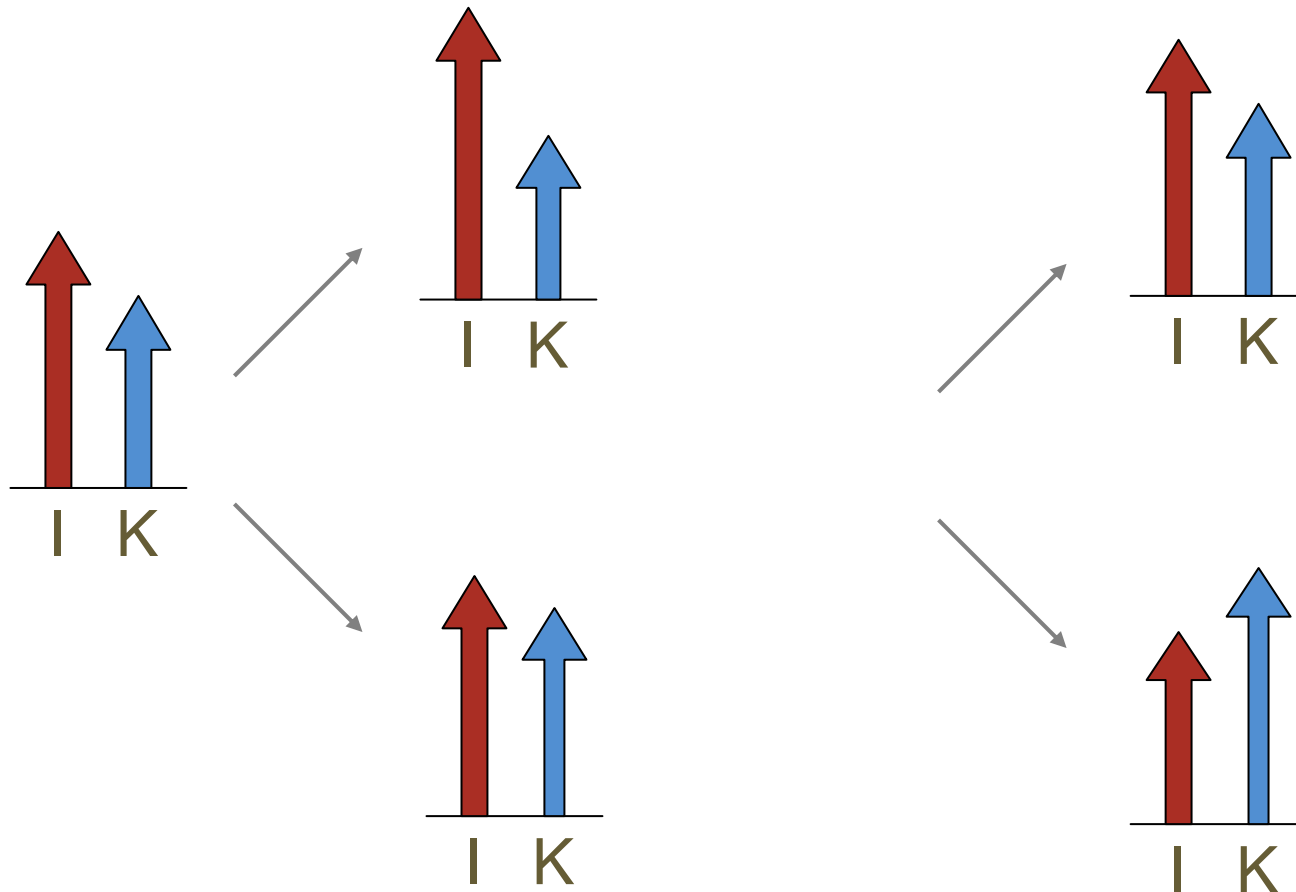
Patienten?

- PP vs. ITT

Aber:

- Sicherheit & Verträglichkeit

# Quantitative und qualitative Interaktion





# Wem helfen pragmatische Studien (I)?

Kliniker?

- wollen individualisieren
- sind begeisterungsfähig

Patienten?

- PP vs. ITT

Aber:

- Sicherheit & Verträglichkeit

# Wem helfen pragmatische Studien (II)?

## System!

- realistische Abschätzung von Effekten jenseits der Studie

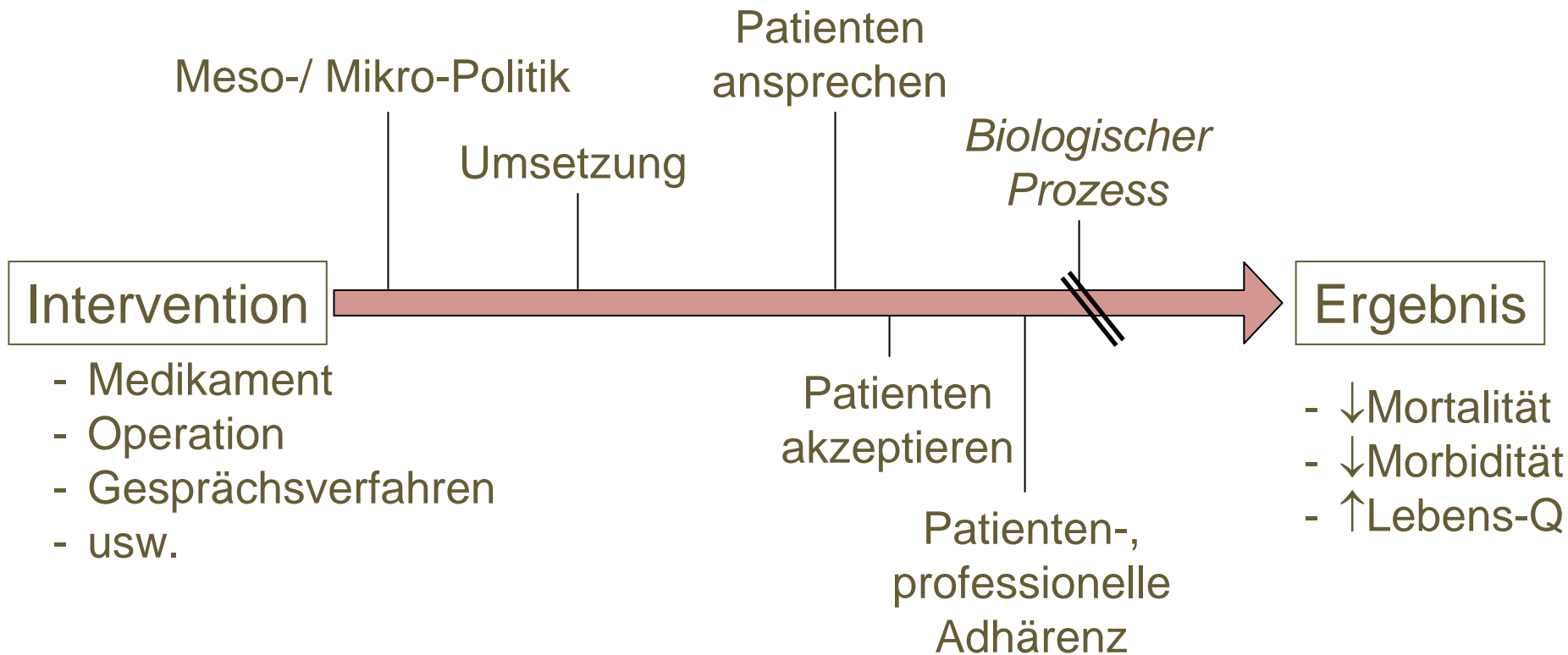
## Kommerzielle Hersteller?

- Seeding & landmark trials
- Gefahr des Scheiterns

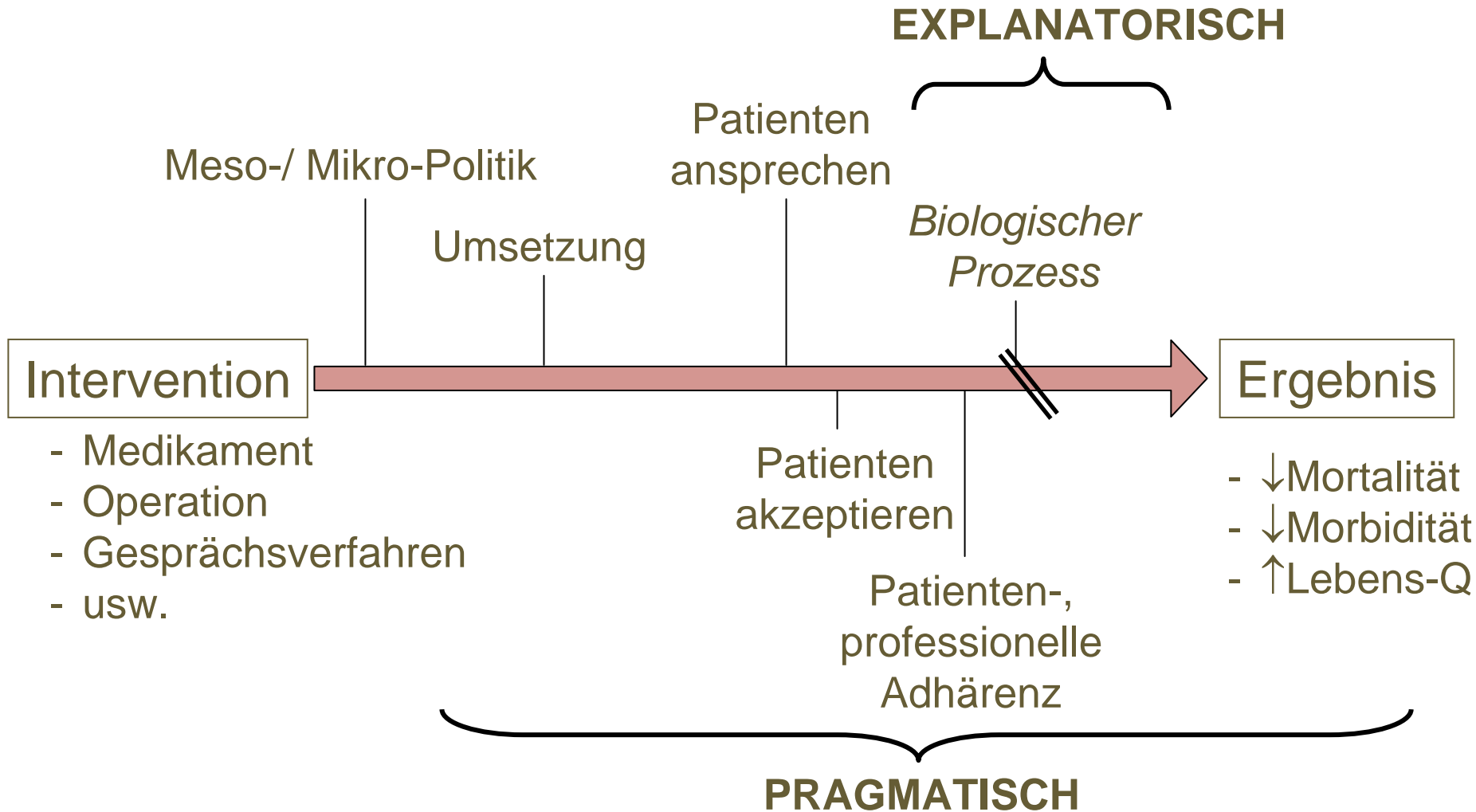
# Studienergebnisse nutzen

Art > Science

# Damit eine Behandlung nützt...



# Damit eine Behandlung nützt...

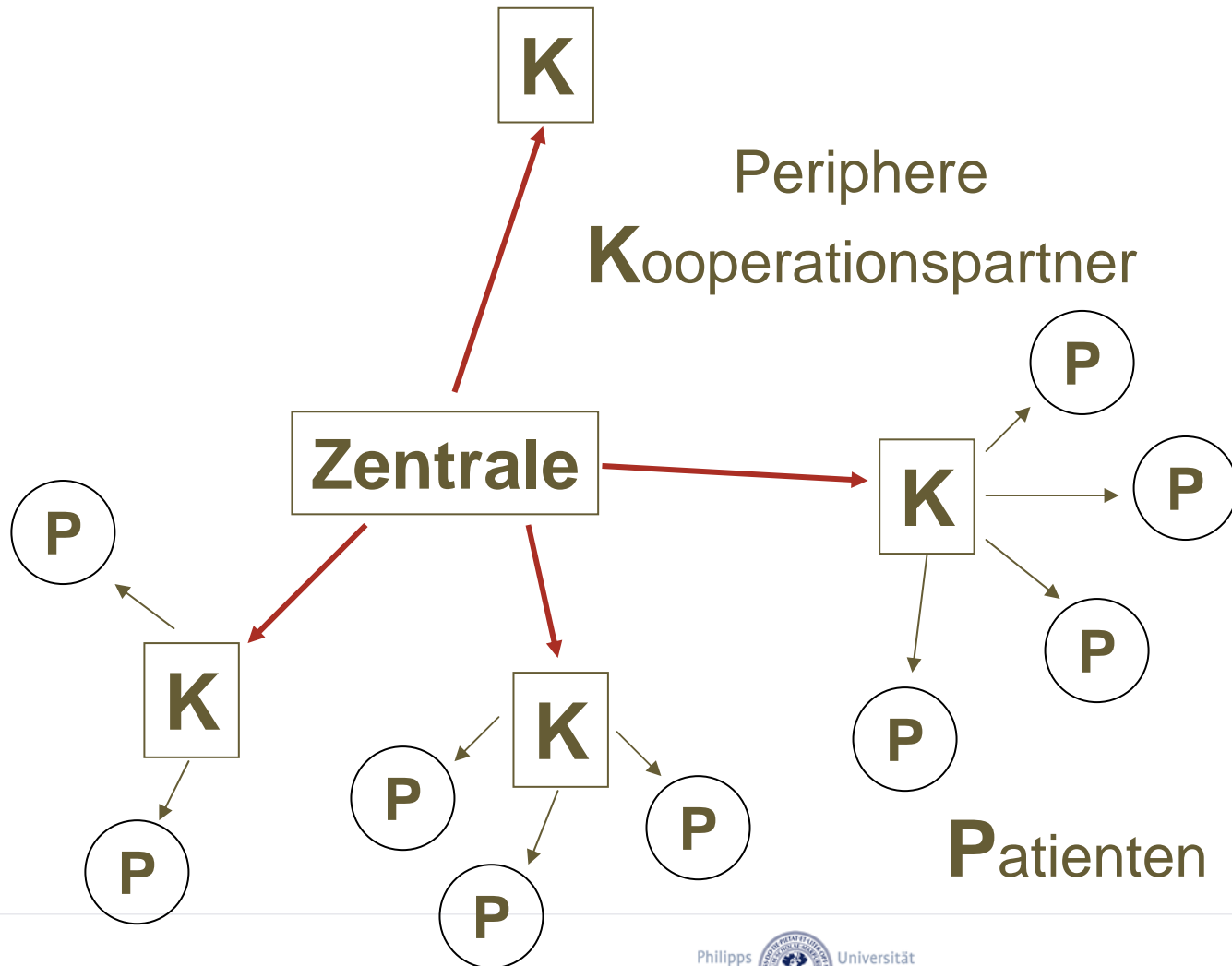


# Akzeptanz durch Kooperationspartner

- Forschungsungewohnte Zentren gewinnen
- Abläufe einpassen

$$\text{Kooperation} = \frac{\text{Wirksamkeit} \times \text{Relevanz} \times \text{Honorar}}{\text{Aufwand} \times \text{Barrieren}}$$

# Jede Studie spielt auf zwei Ebenen



# Nicht zu vergessen:

- Studien zur Prognose
- Studien zur Diagnose

Transparenz und Repräsentativität haben hier einen viel höheren Stellenwert.



# Schlussfolgerungen

- Pragmatische Studien folgen einem spezifischen Ziel und einer definierten Philosophie.
- Für bestimmte Fragestellungen (Prognose, Diagnose) sind sie zwingend notwendig, für andere (Therapie) ein relevanter Erkenntniszuwachs.
- Ihre Durchführung setzt spezifische Designs und Kompetenzen voraus.
- Studien zu nutzen („Verallgemeinerung“) bleibt eine Ermessenssache („art“).

# Literaturhinweise

Homberg L, Baum M, Adami HO. On the scientific inference from clinical trials. J Eval Clin Pract 1999; 5: 157-62.

McMahon AD. Study control, violators, inclusion criteria and defining explanatory and pragmatic trials. Statist Med 2002; 21:1365-76.

Sackett DI. Why randomised controlled trials fail but needn't: 2. Failure to employ physiological statistics, or the only formula a clinician-trialist is ever likely to need (or understand). CMAJ 2001;165:1226-37.

Schwartz D, Lellouch J. Explanatory and Pragmatic Attitudes in Therapeutical Trials. J chron Dis 1967; 20: 637-48.

Windeler J. Externe Validität. Z Evid Fortbild Qual Gesundh wesen 2008;102:253-60.

Yusuf S, Collins R, Peto R. Why do we need some large, simple randomised trials? Statist Med 1984; 3: 409-20.