

Studentische Beiträge*

RCTs für die gesundheitsökonomische Evaluation von Telemedizin – Gibt es Alternativen?

Dmitrij Achelrod, Fachbereich Health Care Management, Universität Hamburg

Häufig wurde die Frage auf der eHealth Conference 2014 aufgeworfen, welche Studiendesigns und welche Methodologie man in Anspruch nehmen kann, um den Nutzen telemedizinischer Interventionen gesundheitsökonomisch zu evaluieren. So wies beispielsweise Prof. Bergh des Universitätsklinikums Heidelberg darauf hin, dass der Großteil der Anbieter telemedizinischer Dienstleistungen den Nutzen ihres Produktes als sehr hoch einschätzen, aber eine solide methodologische Grundlage zur Nutzenbewertung fehlt. Dr. med. Schenkel (Bundesärztekammer) verdeutlichte in seinem Vortrag, dass die Interessensgruppen im Gesundheitssystem (Patienten, Krankenkassen, Ärzte etc..) unterschiedliche Ansprüche und Erwartungen an die Evaluation von Telemedizin haben. Auch wenn es bislang keine international anerkannte Methode gibt, wird die randomisierte Kontrollierte Studie (RCT) als Goldstandard zur (Kosten-)Nutzenbewertung angesehen. Dieser Beitrag soll zunächst die Stärken und Schwächen von RCTs erläutern und einen kleinen Einblick in die Alternativen zu klassischen RCTs gewähren.

RCTs werden als Studien angesehen, die höchste Evidenzqualität generieren können. Doch worin liegt der Vorteil von RCTs?

Die primäre Motivation von RCTs ist die Eliminierung von möglichen Störgrößen, die das Ergebnis verzerren könnten. Durch eine zufällige Zuordnung der Patienten zu der Kontroll- bzw. Interventionsgruppe kann sichergestellt werden, dass alle beobachtbaren und nicht beobachtbaren Charakteristika zwischen der Kontroll- und Interventionsgruppe ähnlich verteilt sind. Somit wird eine Homogenität und gute Vergleichbarkeit der beiden Gruppen garantiert. Der Unterschied in den Kosten und in den klinischen Outcomes wird als kausaler Effekt der Intervention betrachtet.

*Auf Einladung Hamburgs nahmen einige Studierende an der Konferenz teil, die mit fachlichen Beiträgen zu dieser Konferenz in dieser Publikation abgedruckt werden.

Ein weiterer Vorteil ist die Flexibilität bei der Bestimmung der medizinischen und ökonomischen Outcome-Parameter. Detaillierte Informationen über den gesundheitlichen Zustand des Patienten, z.B. Komorbiditäten, können erhoben werden. Somit können die Outcomes gleichzeitig mit klinischen Parametern (z.B. Reduktion von Herzinfarkten) als auch mit Nutzwerten (z.B. QALYs) bestimmt werden. Durch einen Micro-Costing-Ansatz besteht zugleich die Möglichkeit, verschiedene Kostenperspektiven einzunehmen (Leistungserbringer, Zahler).

Was sind die Kehrseiten von RCTs?

RCTs sind meistens sehr teuer und aufwendig in ihrer Planung und Durchführung. Die Auswirkungen sind kleine Populationsgrößen und kurze Beobachtungsperioden, um den finanziellen Rahmen nicht zu sprengen. Dies macht sich insbesondere bei RCTs im Bereich der Telemedizin bemerkbar. Ein Review von Achelrod (2014) zu Telemonitoring für COPD verdeutlicht, dass die meisten RCTs eine sehr geringe Studiengröße und Follow-up Perioden aufweisen. Eine geringe Anzahl von Studienteilnehmern kann zu statistischen Problemen führen und im Extremfall sogar den Effekt der Randomisierung untergraben (siehe Simpson-Paradoxon). Kurze Follow-up Zeiten erlauben nicht, Langzeiteffekte von Interventionen zu messen.

Des Weiteren werden RCTs normalerweise in einer stark selektierten Patientenpopulation und in einem nicht dem Alltag entsprechenden klinischen Umfeld durchgeführt. Die Generalisierbarkeit (externe Validität) von RCTs ist somit eingeschränkt. Deshalb wird häufig argumentiert, dass RCTs nur die klinische „efficacy“, aber nicht die tatsächliche „effectiveness“ messen können.

Was sind die Probleme der RCTs hinsichtlich Telemedizin?

Im Gegensatz zu klassischen RCTs, die z.B. die Wirksamkeit eines einfachen Medikaments testen, gestaltet es sich im Rahmen der Telemedizin sehr schwierig, eine doppelte Verblindung zu erreichen: weder der Patient, noch der behandelnde Arzt dürften wissen, ob es sich bei der telemedizinischen Anwendung um ein Placebo handelt. Dies ist allein schon aus technischer Hinsicht nur schwer zu erreichen.

Ein zusätzlicher Punkt sind die rechtlichen Rahmenbedingungen, die den Spielraum für eine randomisierte Evaluation von Telemedizin durch Krankenkassen einschränken. Eine Krankenkasse, die z.B. im Rahmen eines Pilotprojektes einen telemedizinischen Service evaluieren will, muss grundsätzlich jedem Versicherten diesen Service anbieten, falls sich dieser Versicherte einschreiben möchte. Die Krankenkasse kann somit keine randomisierte Zuordnung der Telemedizin sicherstellen. Höchstens eine Randomisierung auf Bundeslandebene wäre denkbar, was jedoch administrative und organisatorische Schwierigkeiten mit sich bringt.

Die Alternative zu RCTs – Durchführung von nicht-randomisierten Studien mit Hilfe von Krankenkassen-Routinedaten

Die Evaluation von neuen Technologien/medizinischen Dienstleistungen mit Hilfe von Krankenkassendaten hat in den letzten Jahren einen beachtlichen Zuspruch erfahren. Krankenkassen sammeln und verarbeiten eine riesige Menge von Routinedaten: Im Zeitalter von „Big Data“ bietet dies eine passende Gelegenheit, alternative Studiendesigns zu erproben und die bislang unangefochtene Position von RCTs zu hinterfragen. Im Rahmen dieser Entwicklung stellte Dr. Drogies von der DAK Gesundheit vor, wie Krankenkassen ihren Datenreichtum nutzen, um die (Kosten-)Effektivität von Telemedizin zu untersuchen. Routinedaten ermöglichen in diesem Zusammenhang nicht-randomisierte Beobachtungs- und Kohortenstudien.

Was sind die Vorteile von auf Routinedaten basierenden Studien?

Die Sammlung und Verwaltung von Routinedaten sind mit einem deutlich geringeren finanziellen und administrativen Aufwand verbunden. Diese Daten entstehen sozusagen als „Nebenprodukt“ für abrechnungsrelevante Zwecke, bieten jedoch gleichzeitig ein großes Potenzial für wissenschaftliche Analysen. Dieser Kostenvorteil erlaubt es, Ressourcen anderweitig einzusetzen und beispielsweise Kohortenstudien mit längeren Follow-up Perioden und größeren Patientenpopulationen durchzuführen.

Ein weiterer Vorteil ist, dass wissenschaftliche Studien im Rahmen von Krankenkassen-Pilotprojekte meistens die tatsächliche Versorgungsrealität („effectiveness“) reflektieren und somit eine höhere externe Validität als RCTs besitzen.

Was sind die Nachteile von auf Routinedaten basierenden Studien?

Informationen zu Komorbiditäten der Versicherten sind nur in Form von ICD Diagnosen, ATC-Codes und OPS-Prozeduren verfügbar. Klinische Informationen (z.B. Bluthochdruck in mm hg) sind nicht abrufbar. Somit können die Studien-Outcomes nur im Rahmen der „Wirksamkeit“ dargestellt werden, z.B. anhand der Mortalität oder Anzahl der Krankenhauseinweisungen.

Die Kosten liegen zunächst nur aus der Perspektive der Krankenkasse vor. Durch Hinzunahme weiterer Quellen (Informationen von Sozial-/Rentenversicherungen, Zuzahlungen etc.) können jedoch auch die Kosten für die Gesellschaft oder für den Beitragszahler modelliert werden.

Das wohl am häufigsten kritisierte Problem bei Beobachtungsstudien, die auf Routinedaten basieren, ist die fehlende Randomisierung. Es kann zunächst keine Homogenität der Studiengruppen garantiert werden. Die Gefahr von Verzerrungen durch Selektionseffekte, z.B. bei freiwilliger Einschreibung von Versicherten in ein Telemedizinprogramm, ist hoch.

Wie kann das Problem der fehlenden Randomisierung umgangen werden?

Es bietet sich eine Reihe von Instrumenten an, dieses Problem anzugehen, wobei sich in den letzten Jahren sogenannte „Matching“-Verfahren als besonders beliebt erwiesen haben. Das Ziel des Matchings ist es, die Unterschiede in beobachtbaren Patientencharakteristika, z.B. Alter, Geschlecht und Komorbiditäten, zwischen der Kontroll- und Interventionsgruppe auszugleichen. Jedem Individuum aus der Interventionsgruppe wird ein möglichst ähnliches Individuum aus der Kontrollgruppe zugeordnet, d.h. mit einem ähnlichen Alter, Geschlecht und Komorbiditätsprofil. Im Idealfall haben diese beiden Individuen ein identisches Profil, bis auf den Unterschied, dass ein Individuum der Interventionsgruppe (Telemedizingruppe) und das andere der Kontrollgruppe (Standardversorgung – keine Telemedizin) angehört. Durch diese Methode lässt sich eine Quasi-Randomisierung erreichen und der kausale Effekt der zu betrachtenden Technologie (Telemedizin) isolieren. Das wahrscheinlich bekannteste Konzept für das Matching heißt „Propensity

Score Matching“ (PSM). Neuere, weitaus leistungsfähigere Methoden wurden jedoch bereits entwickelt, wie z.B. das Genetic Matching.

Fazit

Es ist anzunehmen, dass sich in den kommenden Jahren solche quasi-randomisierten Beobachtungsstudien auf Basis von Routinedaten wachsender Beliebtheit erfreuen werden. Steigende Datenvolumen und höhere Datenqualität werden hierzu in naher Zukunft ihren Beitrag leisten. Diese Studien werden RCTs jedoch nicht komplett ersetzen können: zu groß sind noch die Abstriche bezüglich der Robustheit der Kausaleffekte und des klinischen Informationsgehalts von Routinedaten. Immerhin wird jedoch aufgezeigt, dass es Alternativen zu RCTs gibt, die in bestimmten Fällen einfacher und kosteneffektiver durchzuführen sind.

Quellen

Achelrod D. Policy expectations and reality of telemedicine – a critical analysis of health care outcomes, costs and acceptance for congestive heart failure. *Journal of Telemedicine and Telecare*. 2014; 20(4): 192-200.