

**VFA-Positionspapier
„Versorgungsforschung aus Sicht des VFA “****Executive Summary**

- Versorgungsforschung betrachtet den Versorgungsalltag unter Berücksichtigung des Behandlungsprozesses. Die beurteilende Versorgungsforschung bewertet die Effizienz der zu untersuchenden Gegenstände. Im Ergebnis kann der Nutzen und die Wirtschaftlichkeit einer Gesundheitsleistung, eines Versorgungskonzepts oder –struktur in ihrem Umfeld gezeigt werden.
- Zur Versorgungsforschung zählt die Untersuchung des Versorgungsbedarfs (Input), der Versorgungsstrukturen bzw. -prozesse (Throughput), der erbrachten Versorgungsleistungen (Output) und des Zugewinns an Gesundheits- bzw. Lebensqualität (Outcome) sowie die gesundheitspolitische Entscheidungsrelevanz der Forschungsergebnisse zu den Kennzeichen der Versorgungsforschung.
- Der VFA ist an einer qualitativ hochwertigen Versorgungsforschung interessiert und plädiert daher für die Einhaltung der internationalen und nationalen Qualitätsstandards.
- Nur qualitativ hochwertige Studien der Versorgungsforschung werden breite Akzeptanz finden. Die Ergebnisse aus hochwertiger Versorgungsforschung sollen als Basis für gesundheitspolitische Entscheidungen genutzt werden.
- Vor diesem Hintergrund ist Versorgungsforschung als gesellschaftliche Aufgabe zu verstehen, zu der alle Institutionen und Organisationen im Gesundheits- und Sozialsystem beitragen sollten. Versorgungsforschung kann daher nicht ausschliesslich Aufgabe der Industrie sein. Die forschenden Arzneimittelhersteller wollen sich im Rahmen ihrer Möglichkeiten und ihres jeweiligen Spektrums beteiligen, um zusätzliche Erkenntnisse bei der Anwendung zugelassener Arzneimittel zu gewinnen.

Seite 1 / 19

1. Präambel

Die forschenden Arzneimittelhersteller wollen dazu beitragen, dass der therapeutische Fortschritt zeitnah und dauerhaft für alle Patienten in Deutschland zur Verfügung steht. Voraussetzung dafür ist ein leistungsfähiges und finanzierbares Gesundheitswesen, das mit verlässlichen und zukunftsorientierten Rahmenbedingungen auch weiterhin die Erforschung, Entwicklung, Produktion und Anwendung innovativer Arzneimittel am Standort Deutschland ermöglicht.

Versorgungsforschung beschreibt, analysiert und interpretiert die gesundheitliche Versorgung der Bevölkerung unter Alltagsbedingungen. Sie untersucht Defizite und Fehlentwicklungen, erarbeitet Versorgungskonzepte, setzt diese um und evaluiert sie. Versorgungsforschung liefert damit die Grundlage für eine nachvollziehbare und zukunftsfähige Gesundheitspolitik, die auf die Herausforderungen des demografischen Wandels und der Finanzierung des medizinischen Fortschritts Antworten finden muss.

Seite 2/19

Versorgungsrealität lässt sich nicht allein mit dem experimentellen Design klinischer Studien abbilden. Unverzichtbar, um den Nutzen aber auch die Grenzen von Behandlungsmaßnahmen in der breiten, routinemäßigen Anwendung durch Arzt und Patient zu bestimmen, ist deshalb kontinuierliche interdisziplinäre Forschung. Diese muss sich am Bedarf der Versicherten und Patienten orientieren.

Die zukünftige Versorgung muss, um Qualität und Wirtschaftlichkeit unseres Gesundheitssystems zu erhöhen, stärker als bisher Forschungsansätze verfolgen, die die handlungsbestimmende Trias aus Studiendaten, Expertise des Arztes und Präferenzen des Patienten unter Alltagsbedingungen mit hoher methodischer Qualität wiedergeben und die damit den Wettbewerb um die beste Versorgung ermöglichen. Um die Versorgungssituation im Alltag dauerhaft zu verbessern und effizienter zu gestalten, muss die Versorgungsforschung als Grundlage gesundheitspolitischer Willensbildung und Zielsetzung gleichberechtigt neben die klinische Forschung und die Gesundheitsökonomie gestellt werden.

Versorgungsforschung ist eine Gemeinschaftsaufgabe, zu der alle Institutionen und Organisationen (Akteure) im Gesundheits- und Sozialsystem beitragen müssen. Die forschenden Arzneimittelhersteller wollen sich im Rahmen ihrer Möglichkeiten und ihres jeweiligen Spektrums beteiligen, um zusätzliche Erkenntnisse bei der Anwendung zugelassener Arzneimittel zu gewinnen.

2. Definition und Fragestellung der Versorgungsforschung¹

Versorgungsforschung („Outcomes Research“ oder „Health Services Research“) ist eine multidisziplinäre Wissenschaft und ein Teilgebiet der Gesundheitssystemforschung. Sie wird als „wissenschaftliche Untersuchung der Versorgung einzelner Patienten und/oder der Bevölkerung mit gesundheitsrelevanten Produkten und Dienstleistungen unter Alltagsbedingungen“ definiert.²

Versorgungsforschung ist einerseits nach der Biomedizinischen und der klinischen Forschung die sog. letzte Meile des Innovations-transfers in die Praxis der Patientenversorgung.³ Andererseits generiert sie auch Basiswissen und beschreibt die Versorgungsstrukturen und deren Zusammenhänge.

Seite 3/19

Ziele der Versorgungsforschung sind⁴

- Wissen über die Kranken⁵ - und Gesundheitsversorgung generieren
- Umsetzung der wissenschaftlichen Erkenntnisse in die Versorgungspraxis verbessern
- Ein lernendes Versorgungs- und Gesundheitssystem etablieren.

Damit ist die Identifizierung von Über-, Unter- und Fehlversorgung möglich und mittel- bis langfristig ein höherer Grad an Patientenorientierung, Qualität und Wirtschaftlichkeit erreichbar.

¹ In Anlehnung an: Zentrum für Versorgungsforschung Köln: Was ist Versorgungsforschung, http://www.zvfk.de/content/e2996/index_ger.html letzter Zugriff: 04.11.2008.

² Arbeitskreis Versorgungsforschung beim wissenschaftlichen Beirat der Bundesärztekammer 2004: 2.

³ Pfaff, Holger: Versorgungsforschung - Begriffsbestimmung, Gegenstand und Aufgaben. In H. Pfaff, M. Schrappe, K. W. Lauterbach, U. Engelmann, & M. Halber (Eds.), Gesundheitsversorgung und Disease Management. Grundlagen und Anwendungen der Versorgungsforschung (pp. 13-23). Bern: Verlag Hans Huber 2003.

⁴ Pfaff, Holger 2007, Informationsveranstaltung Versorgungsforschung des VfA 27.3.2007, Berlin.

⁵ Krankenversorgung: medizinische und psychosoziale Betreuung, Pflege, Diagnose, Behandlung Rehabilitation und Nachsorge eines kranken Menschen durch medizinische und nicht-medizinische Anbieter von Gesundheitsleistungen, einschließlich der Förderung der Selbstkompetenz und Selbstversorgung.

Gesundheitsversorgung: alle Formen sowohl individuumsbezogener als auch populationsbezogener Prävention und Gesundheitsförderung, die durch medizinische und nicht-medizinische Gesundheitseinrichtungen und -fachkräfte erbracht werden; inklusive der Förderung der Selbstkompetenz und Selbstversorgung.

Aufgabengebiet und mögliche Fragestellungen der Versorgungsforschung sind sehr vielfältig. Zur weiteren Klärung werden daher im Folgenden neben der Beschreibung des Gegenstandes der Versorgungsforschung und Beispielen für die Fragestellungen auch die Abgrenzung zu verwandten Themengebieten vorgenommen.

Versorgungsforschung beschreibt und analysiert problemorientiert und fachübergreifend den Weg des Kranken (und des Gesunden) durch das Gesundheitswesen. Sie bezieht sich auf alle Institutionen und Leistungsbereiche der gesundheitlichen Versorgung, angefangen bei der Prävention und Gesundheitsförderung, über die stationäre und ambulante Akutversorgung bis hin zur Rehabilitation und Pflege. Auf verschiedenen Ebenen werden die jeweils relevanten Einflüsse auf die Qualität von Strukturen, Prozessen und Ergebnissen der präventiven, kurativen, rehabilitativen und pflegerischen Interventionen ermittelt. Die Versorgungsforschung entwickelt, erprobt und evaluiert auf Basis dieser Analysen innovative Behandlungsansätze mit dem Ziel, die Effektivität und Effizienz patientenorientierter Versorgung unter Alltagsbedingungen zu verbessern.

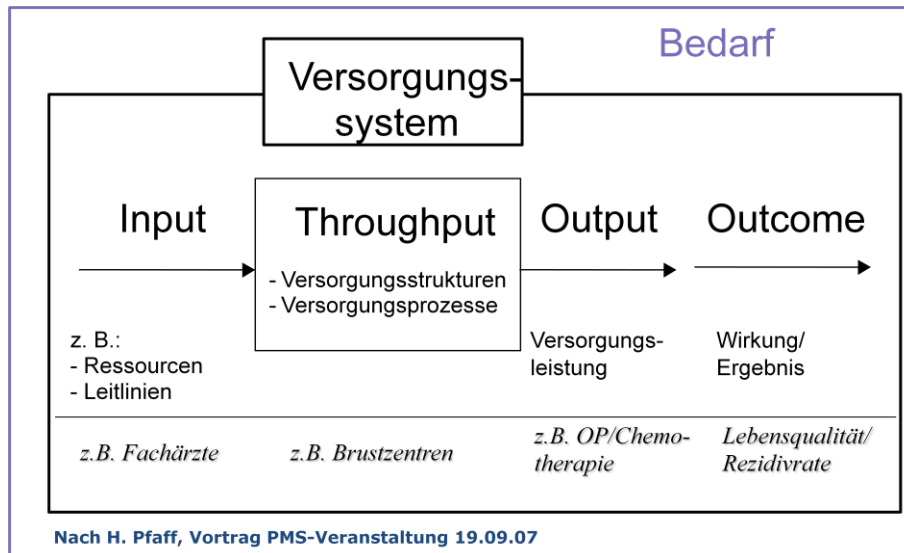
Seite 4/19

Fragestellung der Versorgungsforschung

Zur Versorgungsforschung zählt die Untersuchung des Versorgungsbedarfs (Input), der Versorgungsstrukturen bzw. -prozesse (Throughput), der erbrachten Versorgungsleistungen (Output) und des Zugewinns an Gesundheits- bzw. Lebensqualität (Outcome) sowie die unmittelbar gesundheitspolitische Entscheidungsrelevanz der Forschungsergebnisse.⁶

⁶ In Anlehnung an: Zentrum für Versorgungsforschung Köln: Was ist Versorgungsforschung, http://www.zvfk.de/content/e2996/index_ger.html, letzter Zugriff: 10.11.2008.

„Das systemtheoretische Modell des Versorgungssystems“ adaptiert nach Pfaff (2007):



Quelle: www.paul-martini-stiftung.de

Seite 5/19

Aus dem Input-Throughput-Output-Modell können beispielhaft folgende Fragestellungen der Versorgungsforschung, hier für die Indikation Bluthochdruck abgeleitet werden:

Beispielfragen zum Bedarf

Die Bedarfsforschung untersucht den Versorgungsbedarf einer Population. Darunter kann sowohl der absolute Bedarf gefasst werden (z.B. Prävalenz einer behandlungsbedürftigen Erkrankung) als auch ein Soll-Ist-Vergleich (z.B. Bedarf versus erbrachte Leistungen).

- Wie hoch sind Inzidenz und Prävalenz des Bluthochdrucks?
- Wie viele Patienten mit der Indikation Bluthochdruck werden heute nicht erkannt / therapiert?
- Welcher Behandlungsbedarf besteht heute für Bluthochdruck-Erkrankte und welche/wie viele medizinischen Leistungen sind zur Versorgung erforderlich?
- Inwieweit entsprechen die eingesetzten Leistungen medizinischen Standards?

Beispielfragen zum Input

Alle Einflussfaktoren, die den Eintritt in das System bedingen (z.B. Versorgungsbedarf, Inanspruchnahmeverhalten, dessen Barrieren [z.B. Compliance, Patiententypen]) oder die Voraussetzungen für

die Versorgung darstellen (z.B. Weiterbildung der Ärzte), werden in der Input-Forschung untersucht.⁷

- Welche Kosten verursacht heute ein Hypertoniker? (Unterschied nicht behandelt – Standardbehandlung – leitliniengerechte Behandlung)
- Wie viele Arzneimittel werden heute in der Hypertoniever-sorgung durchschnittlich pro Patient angewendet?
- Wie viele Arzneimittel werden heute in der Hypertoniever-sorgung insgesamt verbraucht?
- Welche und wie viele Fachärzte stehen für die Behandlung von Hypertonikern zur Verfügung?
- Was sind Qualitätsindikatoren für die Versorgung von Hypertonikern?
- Welche Leitlinien gibt es für die Hypertonietherapie?
- Welcher Anteil der Patienten wird leitliniengerecht behandelt? Gibt es regionale, länderspezifische Unterschiede?

Seite 6/19

Beispielfragen zum Throughput

In der Throughput-Forschung werden organisatorische, diagnostische und therapeutische Strukturen und Prozesse wie Wartezeiten, Schnittstellen, OP-Management, Implementierung und Anwendung von Leitlinien, partizipative ("shared decision making") Entscheidungsfindung, Einfluss der Arzt-Patient-Beziehung auf das Versorgungsgeschehen, Versorgungspfade und Klinische Pfade analysiert.⁸

- Wieso kommt es zu Diskontinuitäten in der sektorübergreifenden Versorgung von Hypertonikern?
- Wie sehen Behandlungspfade in der Hypertonie aus?
- Wird in spezialisierten Einrichtungen / zertifizierten Behandlungszentren für Bluthochdruck anders behandelt?
- Gibt es regionale Unterschiede in der Behandlung von Hypertonikern? Wodurch sind diese Unterschiede begründet? (Beispiel: Existenz von Me-too-Listen)
- Einfluss des Systems auf den vorherrschenden Standard in der Bluthochdruckbehandlung?
- Wie wirken sich neue Versorgungsformen (IV, DMP, MVZ, Öffnung des stationären Sektors für die ambulante Versorgung gem. § 116 b SGB V) auf die Prozesse in der Bluthochdruckbehandlung aus?
- Welche Auswirkungen hat eine bestimmte gesetzliche Regelung auf die Versorgungsstruktur /-prozesse im Bereich Bluthochdruck?

⁷ Arbeitskreis Versorgungsforschung des Wissenschaftlichen Beirats der Bundesärztekammer: Definition und Abgrenzung der Versorgungsforschung. Sept. 2004.

⁸ Arbeitskreis Versorgungsforschung des Wissenschaftlichen Beirat der Bundesärztekammer: Definition und Abgrenzung der Versorgungsforschung. Sept. 2004.

Beispielfragen zum Output

Die unmittelbar erbrachten Versorgungsleistungen wie Diagnosen, Eingriffe oder Behandlungen werden unabhängig von ihrer Wirkung auf das eigentliche gesundheitliche Ziel in der Output-Forschung untersucht.⁹

- Wie viele Hypertoniker haben einen leitliniengerecht eingestellten Blutdruck?
- Wie hoch sind die Erfolgsraten der verschiedenen Therapieregime / Behandlungspfade von Hypertonikern? (Compliance, stationäre Einweisungen, Responder)
- Mit welchem Therapieregime können bei Bluthochdruckpatienten Arztbesuche reduziert werden?

Seite 7/19

Beispielfragen zum Outcome

Die Outcome-Forschung untersucht das Erreichen des eigentlichen gesundheitlichen Zieles wie z.B. Vermeidung von Komplikationen, längere Lebenserwartung oder bessere Lebensqualität.¹⁰

- Wie viele Bluthochdruckpatienten mit leitliniengerecht eingestelltem Blutdruck leben länger?
- Wie viele Ereignisse können mit leitliniengerecht eingestelltem Blutdruck von Hypertonikern vermieden werden?
- Welchen Einfluss hat die Versorgung auf den Patientennutzen (Lebensqualität, Therapiezufriedenheit)
- Welche Wechselwirkungen / Interaktionen verschiedener Arzneimittel gibt es? (Polypharmazie)
- Wie hoch ist die Wirtschaftlichkeit von Therapien, Behandlungspfaden oder Versorgungsstrukturen?

3. Abgrenzung zur klinischen Forschung

Klinische, klinisch-epidemiologische Forschung sowie quasi-experimentelle epidemiologische Studien sind wissenschaftliche Versuche, bei denen durch strikte Vorgaben zu den Einschlusskriterien für die Patienten und der Behandlungsweise Störgrößen weitgehend reduziert werden. Sie schaffen Evidenz unter kontrollierten, häufig idealtypischen Bedingungen. Hierbei können und sollen die Bedingungen des Versorgungsalltags explizit nicht einbezogen werden.^{11,12}

⁹ Arbeitskreis Versorgungsforschung des Wissenschaftlichen Beirat der Bundesärztekammer: Definition und Abgrenzung der Versorgungsforschung. Sept. 2004.

¹⁰ Arbeitskreis Versorgungsforschung des Wissenschaftlichen Beirat der Bundesärztekammer: Definition und Abgrenzung der Versorgungsforschung. Sept. 2004.

¹¹ VfA: Nicht-interventionelle Studien – Arten, Einsatzgebiete und Erkenntniswert. 05.03.2007

Versorgungsforschung betrachtet demgegenüber immer den Versorgungsalltag unter Berücksichtigung des Behandlungsprozesses. Die beurteilende Versorgungsforschung bewertet die Effizienz¹³ der zu untersuchenden Gegenstände. Im Ergebnis können der Nutzen und die Wirtschaftlichkeit einer Gesundheitsleistung, eines Versorgungskonzepts oder –struktur in ihrem Umfeld gezeigt werden.

Dieser unterschiedliche Ansatz führt notwendigerweise auch zum Einsatz anderer Studientypen. Somit ergibt sich hieraus eine andere Evidenzhierarchie als in der klinischen Forschung. In der Versorgungsforschung werden nicht-interventionelle Studien (NIS) präferiert, da hier keine Eingriffe in die Behandlungsweise und, sofern Patienten in die Studien einbezogen sind, weit weniger Einschränkungen bei den zu betrachtenden Patienten gemacht werden. Der Versorgungsalltag soll möglichst unverfälscht abgebildet werden, da es hier nicht um die klinische Wirksamkeit (efficacy), sondern um die Alltagswirksamkeit (effectiveness oder cost-effectiveness) geht. Dementsprechend liegt der Fokus auf der externen Validität von Studien und nicht auf der internen Validität wie beispielsweise bei randomisierten klinischen Studien (RCTs) zur Zulassung von Arzneimitteln.^{14,15}

Seite 8/19

4. Wie sehen qualitativ hochwertige Versorgungsforschungsstudien aus?

Die Versorgungsforschung als multidisziplinäre Wissenschaft und Teilgebiet der Gesundheitssystemforschung nutzt z. B. Daten aus Kohortenstudien, Fall-Kontroll-Studien, Anwendungsbeobachtungen und Post-authorisation Safety Studies (PASS) sowie Sekundärdaten in gesundheitswissenschaftlichem Kontext. Als Sekundärdaten lassen sich in diesem Zusammenhang Routinedaten der gesetzlichen Kranken-, Renten- und Unfallversicherung (Sozialdaten) oder Daten von (bevölkerungsbezogenen) Registern bezeichnen.

<http://www.vfa.de/de/presse/pressemitteilungen/pm-017-2007-attachments/> letzter Zugriff: 10.11.2008.

¹² Arbeitskreis Versorgungsforschung des Wissenschaftlichen Beirat der Bundesärztekammer: Definition und Abgrenzung der Versorgungsforschung. Sept. 2004. http://www.versorgungsforschung.nrw.de/versorgungsforschung/cotent/e54/e104/e259/object260/Def_Versorgungsforsch_2004_BAEK.pdf, letzter Zugriff: 10.11.2008

¹³ Begriffsklärung: Effizienz = Kosteneffektivität = Berücksichtigung von Nutzen und Kosten unter Alltagsbedingungen.

¹⁴ Fuchs, Christoph: Förderung der Versorgungsforschung durch die Bundesärztekammer, in: Rebscher, Herbert (Hrsg.): Gesundheitsökonomie und Gesundheitspolitik im Spannungsfeld zwischen Wissenschaft und Politikberatung. Economica 2006; S. 481-493.

¹⁵ Elm, E. von: Das "Strengthening the Reporting of Observational Studies in Epidemiology (STROBE)"-Statement. Leitlinien für das Berichten von Beobachtungsstudien. In Der Internist 2008, 49-688-693.

Neben Daten aus NIS und Sekundärdaten in gesundheitswissenschaftlichem Kontext sind auch Untersuchungen zur Epidemiologie für die Versorgungsforschung von Bedeutung.

Studien der Versorgungsforschung fokussieren auf die Versorgung von Einzelnen oder Teilen der Bevölkerung mit gesundheitsrelevanten Produkten und Dienstleistungen unter Alltagsbedingungen. In diesem Zusammenhang sind die Begriffe Efficacy und Effectiveness, die im angelsächsischen Sprachraum getrennt verwendet werden, zu erläutern und voneinander abzugrenzen. Untersuchungsgegenstand der Versorgungsforschung ist die Effectiveness – der Nutzen unter Alltagsbedingungen. Darüber hinaus wird der Untersuchungsgegenstand im Rahmen des gesamten Behandlungsprozesses betrachtet.

Seite 9/19

Im Gegensatz dazu wird im Rahmen von RCTs die Efficacy - Klinische Wirksamkeit unter kontrollierten Studienbedingungen – analysiert.

Zur Versorgungsforschung gehören insbesondere folgende Studienarten:^{16, 17, 18}

- Anwendungsbeobachtung (AWB):

Die AWB dient der Sammlung von Erkenntnissen bei der Anwendung zugelassener Arzneimittel, um Nutzen von Behandlungsmaßnahmen in der breiten routinemäßigen Anwendung durch Arzt und Patient zu bestimmen. Diese Studienart ist besonders geeignet, um Fragestellungen bezüglich Prognose, Überlebenszeit, Lebensqualität, Nutzen und Therapiekosten zu beantworten. Die AWB verfügt über einen Erhebungsplan inklusive Fallzahlberechnung und Erhebungsbögen zur Datenerfassung analog zum Prüfplan und Prüfprotokoll bei klinischen Studien. Die AWB kommt ohne Vergleichsgruppe aus und gehört somit zu den deskriptiven Versorgungsforschungsstudien.

- Post-authorisation Safety Study (PASS):

Die PASS als Untergruppe der AWB dient gezielt der Ermittlung der Häufigkeit bereits bekannter, unerwünschter Arzneimittelwirkungen unter Praxisbedingungen, sowie der Identifizierung bisher noch nicht bekannter, seltener Sicherheitsprobleme, die in klinischen Studien aufgrund der begrenzten Patientenzahlen nicht erfasst wurden. Sie kann auch die Untersuchung möglicher Risiken bei bestimmten Patientengruppen zum Ziel haben. Die PASS verfügt

¹⁶ Grimes, David A; Schulz Kenneth F: An overview of clinical research: the lay of the land. Lancet 2002; 359: 57-61.

¹⁷ Projektgruppe Evidence-based Public Health des Bundesamtes für Gesundheit der Schweiz, http://www.henet.ch/ebph/11_studientypen/studientypen_111.php Letzter Zugriff: 03.11.2008.

¹⁸ Rychlik, Reinhard: Strategies in Pharmacoeconomics and Outcomes Research. The Haworth Press 2002.

über einen Erhebungsplan und Erhebungsbögen zur Datenerfassung analog zum Prüfplan und Prüfprotokoll bei klinischen Studien.

- Kohortenstudie:

Die Kohortenstudie beobachtet mindestens zwei Kohorten, so dass ein Vergleich unterschiedlicher Therapien oder Indikationen möglich ist. Sie gehört damit zu den analytischen Studien und ist zur Beantwortung von Fragen bzgl. des langfristigen Behandlungserfolges, des Nutzens von Arzneimitteln, der Arzneimittelsicherheit oder zur Erstellung von Kosten-Effektivitätsanalysen geeignet. Die Kohortenstudie verfügt über einen Erhebungsplan inklusive Fallzahlberechnung und Erhebungsbögen zur Datenerfassung analog zum Prüfplan und Prüfprotokoll bei klinischen Studien. Die Kohortenstudie kann prospektiv oder retrospektiv angelegt sein.

Seite 10/19

- Fall-Kontroll-Studie:

Es handelt sich stets um retrospektive Studien, die vorhandene Patientendaten auswerten (z.B. von Krankenkassen oder Registern). Patienten mit einer bestimmten Erkrankung (Fälle) werden mit einer möglichst homogenen Gruppe verglichen, die diese Erkrankung nicht haben (Kontrolle). Ziel ist die Untersuchung, wie sich Fälle und Kontrollen hinsichtlich der Exposition in der Vergangenheit unterscheiden.

Sowohl die Kohortenstudie als auch die Fall-Kontroll-Studie kann auf der Basis von Datenbanken oder Registern durchgeführt werden.

Darüber hinaus umfasst die Versorgungsforschung auch

- Gesundheitsökonomische Studien z.B. Krankheitskostenstudien oder gesundheitsökonomische Kohortenstudien,
- Health Technology Assessments (HTA), sofern diese Effectiveness untersuchen,
- klinische Studien, Metaanalysen und systematische Reviews zur Effectiveness sowie
- Qualitätsforschung zu Versorgungsleistungen wie Qualitätssicherung oder -entwicklung.

Eine Herausforderung liegt in der Zusammenführung verschiedener Datenquellen und -bestände. Sowohl Datenschutzbestimmungen als auch die Segmentierung der Datenbestände führen zu einer suboptimalen Nutzung vorhandener Daten. Erste Ansätze zur Integration vorhandener Datenbestände, wie z. B. im Fall der Krankenkassendaten (§ 303 a-f SGB V), sind Beispiele für die Erweiterung der Möglichkeiten von Versorgungsforschung.

Qualitätsstandards in der Versorgungsforschung

Qualitativ hochwertige Versorgungsforschungsstudien orientieren sich an internationalen und nationalen Standards. Dies sind unter anderem die Empfehlungen der International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research (ISPOR)¹⁹, die Empfehlungen zur Sicherung von Guter Epidemiologischer Praxis (GEP)²⁰ der Deutsche Gesellschaft für Epidemiologie (DGEpi) sowie an den Empfehlungen der GPS - Gute Praxis Sekundärdatenanalyse der Arbeitsgruppe Erhebung und Nutzung von Sekundärdaten (AGENS) der Deutschen Gesellschaft für Sozialmedizin und Prävention (DGSMP).^{21,22}

Seite 11/19

In den Empfehlungen werden in folgenden Bereichen Qualitätsstandards gesetzt:

Empfehlung 1 (Ethik)

Untersuchungen zur Versorgungsforschung müssen im Einklang mit ethischen Prinzipien durchgeführt werden und Menschenwürde sowie Menschenrechte respektieren. Sofern individuelle Patientendaten erhoben werden, soll vor der Durchführung der Studie zur Versorgungsforschung die Stellungnahme einer Ethik-Kommission eingeholt werden.

Empfehlung 2 (Forschungsfrage)

Die Planung jeder Studie zur Versorgungsforschung erfordert explizite und operationalisierbare Fragestellungen, die spezifisch und so präzise wie möglich formuliert sein müssen.

Die explizite Formulierung der Forschungsfrage ist wesentliche Voraussetzung für Planung und Bewertung des Studiendesigns und der Erhebungsinstrumente, aber auch des Zeit- und Kostenrahmens der geplanten Untersuchung. Sie determiniert auch die zu

¹⁹ International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research (ISPOR): www.ispor.org, letzter Zugriff: 12.01.09

²⁰ DGEpi: Leitlinien und Empfehlungen zur Sicherung von Guter Epidemiologischer Praxis (GEP), Juli 2008.

<http://www.dgepi.de/pdf/infoboard/stellungnahme/GEP%20mit%20Ergaenzung.pdf> letzter Zugriff: 05.11.2008.

²¹ <http://www.dgepi.de/pdf/infoboard/stellungnahme/gps-version2-final.pdf> Letzter Zugriff: 05.11.2008.

²² Siehe hierzu auch: VFA-Empfehlungen zur Verbesserung der Qualität und Transparenz von nicht-interventionellen Studien. <http://www.vfa.de/de/forschung/nisdb/nis-vfa-empfehlungen.html>, Letzter Zugriff: 04.11.2008.

untersuchende Bevölkerungsgruppe/Zielpopulation der Untersuchung.

Empfehlung 2.1

Bei der Darstellung der Forschungsfrage sind konfirmatorische und explorative Fragestellungen klar voneinander abzugrenzen.

Empfehlung 2.2

Wenn in einer Studie Hypothesen konfirmatorisch geprüft werden sollen, müssen diese vor Beginn der Studie explizit im Erhebungsplan formuliert werden.

Seite 12/19

Empfehlung 3 (Studienplan)

Grundlage einer Studie zur Versorgungsforschung ist ein detaillierter und verbindlicher Erhebungsplan, in dem die Studiencharakteristika schriftlich festgelegt werden.

Der Erhebungsplan ist – analog zum Prüfplan einer klinischen Studien - eine Zusammenstellung der wichtigsten Angaben, die für die Beantragung und Beurteilung der Studie als Forschungsvorhaben und für ihre Durchführung notwendig sind.

Bestandteile des Erhebungsplans sollten sein:

- Fragestellung und Arbeitshypothesen
- Studientyp
- Studienbasis (Zielpopulation) und Studienpopulation
- Studienumfang und dessen Begründung
- Auswahl- und Rekrutierungsverfahren der Studienteilnehmer (dokumentierenden Ärzte und Patienten)
- Definition sowie Mess- und Erhebungsverfahren für die Zielvariablen (Endpunkte, engl. endpoints, outcome variables)
- Expositionen bzw. Risikofaktoren
- potentielle Confounder und Effektmodifikatoren
- Datenerfassungs- und Archivierungskonzeption
- Auswertungsstrategie einschließlich der statistischen Modelle (Auswertungsplan)
- Zwischenauswertungen
- Maßnahmen zur Qualitätssicherung
- Maßnahmen für die Gewährleistung des Datenschutzes und ethischer Prinzipien
- Zeitplan mit Festlegung der Verantwortlichkeiten.

Bereits bei der Planung von Studien zur Versorgungsforschung soll möglichen Verzerrungen (Bias) der Ergebnisse entgegengewirkt werden.

Empfehlung 4 (Patientenaufklärung)

Sofern die Versorgungsforschungsstudie die Dokumentation von Patientendaten beinhaltet, sollten die Patienten vorher schriftlich über die Mitwirkung des Studienzentrums bzw. des Arztes oder anderer Angehöriger der Fachkreise, die beabsichtige Einbeziehung der Patienten und die vorgesehene Verwendung der zu erhebenden Daten aufgeklärt werden und der Datenerhebung zustimmen, sofern der dadurch entstehende Selektionsbias nicht das Ziel der Untersuchung konterkariert.

Empfehlung 5 (Datenschutz)

Bei der Planung und Durchführung von Studien zur Versorgungsforschung ist auf die Einhaltung der geltenden Datenschutzvorschriften zum Schutz der informationellen Selbstbestimmung zu achten.

Seite 13/19

Empfehlung 6 (Qualitätssicherung)

In Studien zur Versorgungsforschung ist eine begleitende Qualitätssicherung aller relevanten Instrumente und Verfahren sicherzustellen.

Eine interne Qualitätssicherung ist unabdingbarer Bestandteil jeder Studie zur Versorgungsforschung. Zielvorgabe für die Qualitätssicherung sind die im Studienplan festgelegten zeitlichen, organisatorischen und technischen Durchführungsregeln.

Hierzu empfiehlt sich der Einsatz von "Standard Operating Procedures" (SOP), die die Grundsätze und zu beachtenden innerbetrieblichen Prozessabläufe für Planung, Durchführung und Auswertung sowie geeignete Qualitätssicherungsmaßnahmen näher konkretisieren. Sowohl die Mitarbeiter als auch beauftragte Dritte, die bei der Planung, Durchführung und Auswertung von Versorgungsforschungsstudien tätig werden, sollten regelmäßig über den Inhalt der SOP geschult werden.

Empfehlung 7 (Datenhaltung und -dokumentation)

Für die Erfassung und Speicherung aller während der Studie erhobenen Daten sowie für die Aufbereitung, Plausibilitätsprüfung, Kodierung und Bereitstellung der Daten ist vorab ein Konzept zu erstellen.

Alle während der Studie erhobenen Daten (Dokumentationsbögen, Fragebögen, Mess- und Laborwerte etc.) sollen zeitnah in eine Datenbank überführt werden, die eine sichere Erfassung und Speicherung der Daten gewährleistet. Plausibilitätskontrollen erfolgen prinzipiell auf der Grundlage des prüfeingegebenen Rohdatensatzes.

Der nach Plausibilitätsprüfung und Datenkorrektur überarbeitete Datensatz ist als Auswertungsdatensatz zu kennzeichnen und unabhängig vom Rohdaten-File zu speichern.

Empfehlung 8 (Registereintrag)

Mit Studienbeginn sollen Informationen über die beabsichtigte Versorgungsforschungsstudie (Studientitel, Zielsetzungen, Name des Studienleiters, geplante Zahl der Studienzentren sowie die angestrebte Fallzahl) in ein öffentlich zugängliches Register²³ eingestellt werden (in Anlehnung an die gemeinsame Erklärung von IFPMA, EFPIA, JPMA und PhRMA zur Registrierung klinischer Prüfungen)²⁴.

Seite 14/19

Empfehlung 9 (Auswertung)

Die Auswertung der erhobenen Daten soll unter Verwendung adäquater Methoden und ohne unangemessene Verzögerung erfolgen. Die den Ergebnissen zugrunde liegenden Daten sind in unveränderter und vollständig reproduzierbarer Form für mindestens 10 Jahre aufzubewahren.

Empfehlung 10 (Vertragliche Rahmenbedingungen)

Die Durchführung einer Studie zur Versorgungsforschung setzt definierte rechtliche und finanzielle Rahmenbedingungen voraus. Hierzu sind rechtswirksame Vereinbarungen zwischen Auftraggeber und Auftragnehmer sowie zwischen Partnern von Forschungskoooperationen anzustreben.

Insbesondere ist von den FSA-Mitgliedern der FSA-Kodex ist zu beachten.²⁵

Empfehlung 11 (Interpretation)

Die Interpretation der Forschungsergebnisse einer Versorgungsforschungsstudie ist Aufgabe des Autors/der Autoren einer Publikation. Grundlage jeder Interpretation ist eine kritische Diskussion der

²³ Hierzu können VFA-Mitgliedsfirmen das Register auf den Seiten des VFA nutzen: <http://www.vfa.de/de/forschung/nisdb/> letzter Zugriff: 05.11.2008.

²⁴ http://clinicaltrials.ifpma.org/no_cache/de/meinportal/index.htm Letzter Zugriff: 05.11.2008.

²⁵ FSA-Kodex zur Zusammenarbeit mit Fachkreisen (FSA-Kodex Fachkreise) vom 16.02.2004 (bekannt gemacht im Bundesanzeiger vom 22.04.2004, BAnz. Nr. 76, S. 8732), geändert am 02.12.2005 (bekannt gemacht im Bundesanzeiger vom 29.03.2006, BAnz. Nr. 62, S. 2220), geändert am 18.01.2008 (bekannt gemacht im Bundesanzeiger vom 07.05.2008, BAnz. Nr. 68, S. 1636).

Methoden, Daten und Ergebnisse der eigenen Untersuchung im Kontext der vorhandenen Evidenz.

Empfehlung 12 (Publikation)

Die Publikation der Ergebnisse einer Studie zur Versorgungsforschung darf nicht verhindert, behindert oder unzumutbar verzögert werden. Die Veröffentlichung der Ergebnisse ist spätestens 12 Monate nach Abschluss der Untersuchung anzustreben. Bei der Publikation ist auf eine hohe Qualität im Sinne des STROBE-Statements zu achten.²⁶

Empfehlung 13 (Kommunikation und Public Health)

Seite 15/19

Epidemiologische Studien, deren Anliegen die Umsetzung von Ergebnissen in gesundheitswirksame Maßnahmen ist, sollten die betroffenen Bevölkerungsgruppen angemessen einbeziehen und eine qualifizierte Risikokommunikation mit der interessierten Öffentlichkeit anstreben.

Die hier gegebenen Empfehlungen sollen dazu dienen, einen hohen Qualitätsstandard für die Versorgungsforschung in Deutschland zu etablieren. Sie sollen helfen, gut fundierte und verlässliche Ergebnisse zu erzielen, die sowohl in der Wissenschaft als auch in Politik und Gesellschaft Akzeptanz finden. Dennoch sollen die Empfehlungen kein enges und starres Handlungskorsett sein, welches die Möglichkeiten der Versorgungsforschung unnötig einschränkt. Vielmehr soll durch sie ein Handlungskorridor definiert werden, in dem sich die Versorgungsforschung in ihren vielfältigen Varianten und Anwendungsbereichen voll entfalten kann.

5. Wer soll Versorgungsforschung betreiben?

Versorgungsforschung dient neben der Qualitätsverbesserung des Versorgungsalltags der gesundheitspolitischen Willensbildung und Zielformulierung. Praktisch die gesamte Bevölkerung ist von Gesundheitsversorgung ‚betroffen‘, sei es als Versicherte oder Patienten oder aber als Leistungserbringer im weitesten Sinn. Gleichzeitig stehen alle Beteiligten in einem engen Netz wechselseitiger Beziehungen und Abhängigkeiten. Deshalb ist Versorgungsforschung eine Gemeinschaftsaufgabe, zu der alle Institutionen, Organisationen und Akteure im Gesundheits- und Sozialsystem beitragen sollten:

²⁶ Elm, E. von: Das „Strengthening the Reporting of Observational Studies in Epidemiology (STROBE)“-Statement. Leitlinien für das Berichten von Beobachtungsstudien. In: Der Internist 2008, 49-688-693.

| Akteure | Aktionen | | | |
|---|-------------|-------------|-------------|--------|
| | Veranlassen | Durchführen | Finanzieren | Nutzen |
| Behörden, Ministerien | X | | X | X |
| Sozialversicherung (GKV, GRV, GPV) | X | X | X | X |
| Selbstverwaltung | X | X | X | X |
| Wissenschaft | | X | | X |
| Leistungserbringer (Ärzte, Krankenhäuser, Industrie) | X | X | X | X |
| Versicherte, Patienten, Patientenorganisationen | X | | X | X |

Ein adäquater und verantwortungsvoller Umgang mit den zur Verfügung stehenden Ressourcen liegt im Interesse aller Beteiligten im Gesundheitssystem. Hierzu legt die Versorgungsforschung mittels Studien zur Qualitätsbestimmung und -verbesserung den Grundstein.

Um in einen ständigen Wettbewerb um bessere Versorgung eintreten zu können, sind vergleichende Untersuchungen von großem Nutzen, z.B. zwischen Krankenhäusern, ambulanten Einrichtungen oder verschiedenen Versorgungsmodellen.

Ebenso ist, um Strukturbrüche und Hindernisse beim Übergang zwischen Versorgungsebenen erkennen zu können, eine übergeordnete Sichtweise z.B. auf regionaler Ebene oder innerhalb einer Indikation (z.B. Diabetes) oder eines Fachgebietes (z.B. Internisten) notwendig.

Je nach Fragestellung und Bedeutung der zu erwartenden Ergebnisse müssen sich an der Durchführung und vor allem auch Finanzierung mehr gesellschaftliche Gruppen als bisher beteiligen, da letztlich alle von Versorgungsforschung profitieren. Kooperationen zwischen einzelnen Akteuren sollten darüber hinaus für eine größere Akzeptanz und Wahrnehmung der Ergebnisse sorgen. Die Ergebnisse der Versorgungsforschung können zu einer effizienteren Gestaltung unseres Gesundheitssystems beitragen, z.B. durch Überwindung der sog. Schnittstellenproblematik.

6. Versorgungsforschung der pharmazeutischen Hersteller

Die Vielzahl der aus den dargelegten Gründen notwendigerweise an der Versorgungsforschung zu beteiligenden gesellschaftlichen Gruppen, Entscheidungsträger und Interessenvertreter erfordert im Umgang miteinander die Einhaltung fairer Regeln, um die Akzeptanz der Ergebnisse der Versorgungsforschung zu gewährleisten. Dies gilt auch für die pharmazeutischen Hersteller.

Die vom VfA und seinen Mitgliedsfirmen initiierten Versorgungsforschungsstudien, die die ganze Vielfalt der Studienarten beinhalten und ausschöpfen können, stehen innerhalb des bestehenden Rechts- und Regelungsrahmens für die Studiendurchführung.

Seite 17/19

Wie bereits dargelegt, orientieren sich qualitativ hochwertige Versorgungsforschungsstudien an den Qualitätsstandards aus

- den Empfehlungen der International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research (ISPOR)²⁷
- den Empfehlungen zur Sicherung von Guter Epidemiologischer Praxis (GEP)²⁸ der Deutsche Gesellschaft für Epidemiologie (DGEpi)
- den Empfehlungen der GPS - Gute Praxis Sekundärdatenanalyse der Arbeitsgruppe Erhebung und Nutzung von Sekundärdaten (AGENS) der Deutschen Gesellschaft für Sozialmedizin und Prävention (DGSMP)²⁹
- den Empfehlungen zur Planung, Durchführung und Auswertung von Anwendungsbeobachtungen des Bundesinstituts für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM)³⁰
- dem Kodex der „Freiwillige Selbstkontrolle für die Arzneimittelindustrie e.V.“ (FSA)³¹

²⁷ International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research (ISPOR): www.ispor.org, letzter Zugriff: 12.01.09

²⁸ DGEpi: Leitlinien zur Empfehlung zur Sicherung von Guter Epidemiologischer Praxis (GEP), März 2008.

<http://www.dgepi.de/pdf/infoboard/stellungnahme/GEP%20mit%20Ergaenzung.pdf> letzter Zugriff: 05.11.2008.

²⁹ <http://www.dgepi.de/pdf/infoboard/stellungnahme/gps-version2-final.pdf> Letzter Zugriff: 05.11.2008.

³⁰ BfArM: Gemeinsame Empfehlungen des Bundesinstituts für Arzneimittel und Medizinprodukte und des Paul-Ehrlich-Instituts zur Planung, Durchführung und Auswertung von Anwendungsbeobachtungen. Entwurfsfassung vom 09.Mai 2007 zur Kommentierung durch die Fachöffentlichkeit.

http://www.bfarm.de/clin_029/nn_1198726/SharedDocs/Publikationen/DE/Arzneimittel/1_vorDerZul/klin-pr/nichtInterventPruef/EmpfAWBEntwurf.templateId=raw.property=publicationFile.pdf/EmpfAWBEntwurf.pdf, letzter Zugriff: 10.11.2008

³¹ FSA-Kodex zur Zusammenarbeit mit Fachkreisen (FSA-Kodex Fachkreise) vom 16.02.2004 (bekannt gemacht im Bundesanzeiger vom 22.04.2004, BAnz. Nr. 76, S. 8732), geändert am 02.12.2005 (bekannt gemacht im Bundesanzeiger vom 29.03.2006, BAnz. Nr. 62, S. 2220),

Die Einhaltung dieser Empfehlungen sichert eine hohe Qualität, das geforderte Register für Studien zur Versorgungsforschung die Transparenz von Versorgungsforschung und ihren Ergebnissen. Gemeinsame Qualitätsstandards und Transparenz wiederum sind relevante Voraussetzungen für einen fairen Umgang der Beteiligten und der wissenschaftlichen Akzeptanz der Ergebnisse.

7. Versorgungsforschung als gesellschaftliche Aufgabe

Versorgungsforschung mit ihren vielfältigen Ausprägungen und Fragestellungen kann nicht nur Aufgabe der pharmazeutischen Industrie sein. Sie ist als gesellschaftliche Aufgabe zu verstehen, die auf möglichst vielen Schultern ruhen sollte.

Seite 18/19

Die folgenden Regeln helfen bei der Durchführung und Interpretation von Versorgungsforschung:

- Klare Darstellung der Intention des Projektes:
Es muss von vornherein geklärt sein, wer mit welcher Betrachtungsweise (z. B. medizinisch, politisch, ökonomisch) Versorgungsforschung mit welchem Erkenntnisinteresse durchführt.
- Mitwirkungspflichten
Die für Versorgungsforschung zuständigen Akteure (Politik, Sozialversicherungen, Wissenschaft, Leistungserbringer, Patienten, Versicherte, Industrie) müssen sich ihrer Verantwortung bewusst werden und jeder Akteur ist aufgerufen seinen Beitrag zu leisten. Studien zur Beantwortung gesellschaftlich wichtiger Fragestellungen sollten nicht nur von einem Akteur durchgeführt werden (müssen).
- Volle Transparenz sollte gewährleistet sein; dazu gehören:
 - öffentliche Registrierung der Versorgungsstudie z.B. im VFA-Register für nicht-interventionelle Studien
 - Klare vertragliche Vereinbarungen
 - Offenlegung von politischen und wirtschaftlichen Interessen
 - Offenlegung von Kooperationen
 - Bereitstellung der Daten für weitere Forschungsprojekte
 - Obligatorische Publikation

8. Versorgungsforschung als Basis gesundheitspolitischer Entscheidungen

Langfristiges Ziel ist die Berücksichtigung der Ergebnisse aus der Versorgungsforschung bei gesundheitspolitischen Entscheidungen.³² Das Gesundheitssystem ist ein lernendes System, in dem neue Erkenntnisse zu einer Verbesserung des Versorgungsalltags im Sinne einer optimierten Versorgung der Bevölkerung beitragen sollen. Alle normgebenden Akteure im System sollten die Ergebnisse der Versorgungsforschung in ihre Entscheidungen mit einfließen lassen, damit die Rahmenbedingungen für die handelnden Akteure die zielführenden Anreize bieten. Somit kann Versorgungsforschung im Rahmen der Politikfolgenabschätzung wertvolle Beiträge leisten.

Seite 19/19

Der VFA begrüßt die Vielfalt der Ansätze in der Versorgungsforschung, die sich aus der Interdisziplinarität ergeben, und wird gerne seinen Beitrag leisten.

Stand 27.01.09

³² Fuchs, Christoph; Scriba, Peter C.: Warum eine Förderinitiative zur Versorgungsforschung der Ärzteschaft. In: Kurth, B.-M. (Hrsg.): Monitoring der gesundheitlichen Versorgung in Deutschland. Konzepte, Anforderungen, Datenquellen. Dt. Ärzteverlag 2008, S. 1-4.