

Friedrichshainer Kolloquium, 26. Januar 2010
Teilhabe: Mensch, Ethik und Wissenschaft

Menschen mit Behinderung als Akteure in der
Forschung

Saubere Methodik und Partizipation:
ein Widerspruch?

Prof. Dr. Karl Wegscheider

Institut für Medizinische Biometrie und Epidemiologie
Universitätsklinikum Hamburg-Eppendorf

Ein Fallbeispiel

Bei einer seit 10 Jahren auf den Rollstuhl angewiesenen MS-Patientin wird ein Morbus Hodgkin in einem frühen Stadium diagnostiziert. Laut Lehrbuch hat sie ‚bei optimaler Therapie‘ eine 5-Jahres-Überlebenswahrscheinlichkeit von 98%.

Der Facharzt, der die Diagnose gestellt hat, empfiehlt ihr **eine aggressive Chemotherapie**, die zwar starke Nebenwirkungen habe, aber besonders gute Überlebenschancen böte.

Ihr Hausarzt empfiehlt ihr in Anbetracht ihrer Behinderung **eine sanfte Chemotherapie** mit weniger Nebenwirkungen, mit der er gute Erfahrung habe.

Ein dritter Arzt empfiehlt ihr, auf die Chemotherapie ganz zu verzichten und **ein alternatives Heilverfahren** durchzuführen.

Die Universitätsklinik empfiehlt die **Teilnahme an einer randomisierten Studie**, in der eine neuartige Chemotherapie mit der aktuell verwendeten aggressiven Chemotherapie verglichen wird.

Was sollte sie tun?

Was ist der Stand der Forschung?

Bei einer seit 10 Jahren rollstuhlabhängigen MS-Patientin wird ein Morbus Hodgkin in einem frühen Stadium diagnostiziert. Laut Lehrbuch hat sie ‚bei optimaler Therapie‘ eine 5-Jahres-Überlebenschance von 98%.

Der Facharzt, der die Diagnose gestellt hat, empfiehlt ihr **eine aggressive Chemotherapie**, die zwar starke Nebenwirkungen hat, aber besonders gute Überlebenschancen bietet. **Getestet gegen vorherige aggressive Chemotherapie**

Ihr Hausarzt empfiehlt ihr in Anbetracht ihrer Behinderung **eine sanfte Chemotherapie** mit weniger Nebenwirkungen, mit der er gute Erfahrung hat.

Getestet gegen vorherige sanfte Chemotherapie
Ein dritter Arzt empfiehlt ihr, auf die Chemotherapie ganz zu verzichten und **ein alternatives Heilverfahren** auf homöopathischer Basis durchzuführen.

Gar nicht getestet
Die Universitätsklinik empfiehlt die **Teilnahme an einer randomisierten Studie**, in der eine neuartige Chemotherapie mit der aktuell verwendeten aggressiven Chemotherapie verglichen wird. **Zulassungsstudie für neue Therapie**

Wieso gibt es keine mehrarmige Vergleichsstudie an komorbiden Patienten?

Phasen der klinischen Entwicklung eines Medikamentes/Gerätes⁴

Präklinische Forschung

- Labor- und Tierversuche, Zellkulturen

Phase I (Erstanwendung am Menschen)

- Verträglichkeit, Dosisfindung I

Phase II (Erstanwendung am Patienten)

- Wirkungen, Sicherheit, Dosisfindung II

Phase III (Zulassungsstudie)

- Wirksamkeitsnachweis, Sicherheit

Head-to-head-Studien

Nutzen-Studien

Analyse von Versorgungsstrategien

„Comparative Effectiveness Studies“

Phase IV (nach der Zulassung)

- Sicherheit, Therapieoptimierung



Spitzenforschung – efficacy

unter idealen Bedingungen

Phase II / III

forschungsorientiert, Karriereweg

Abschnitt im Methodenteil

Das volle Leben

veröffentlicht, aber wahr?

vorhanden

(nach Picano)

Versorgungsforschung - effectiveness

Schauplatz

Im Feld

Arzneimittelentwicklung

Phase IV

Verantwortlicher Arzt

Grauhaarig, weise

Rolle des Patienten

Hauptperson

Rolle der Technologie

Ein kleiner Teil des Lebens

Ergebnisse

wahr, aber nicht veröffentlicht

Impuls

nicht vorhanden

für wirtschaftliche Entwicklung

Wissenschaftler ...

haben Forschungsziele

haben Fragestellungen

haben Lehrmeinungen

sind interessiert am
Verallgemeinerbaren

haben *Methodik/Systematik*

randomisieren/kontrollieren
den Zufall

beobachten

hoffen auf Signifikanz

machen nach der Studie eine
neue

Patienten ...

haben Lebensziele

haben Probleme

haben persönliche
Vorstellungen

sind interessiert am
Individuellen

haben eine Lebensweise

haben Glück und Pech

erleben und leiden

hoffen auf Besserung

tragen die Folgen

Forscher und Betroffene



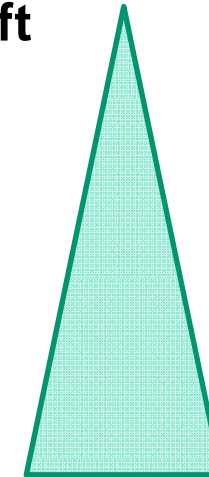
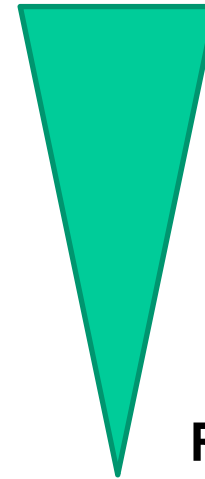
Warum Chronisch Kranke und Behinderte trotzdem an Studien teilnehmen

- Studien sind die einzige Chance, in der Zukunft zu vernünftigen therapeutischen Entscheidungen zu kommen.
- Der Patient, der an einer Studie teilnimmt, wird viel aufmerksamer behandelt als andere Patienten.
- Der Patient, der an einer Studie teilnimmt, profitiert nicht oder erst sehr viel später vom Studienergebnis.
Doch: Durch ihre Studienteilnahme helfen Patienten anderen Patienten.

Studiendesigns für Comparative Effectiveness Trials

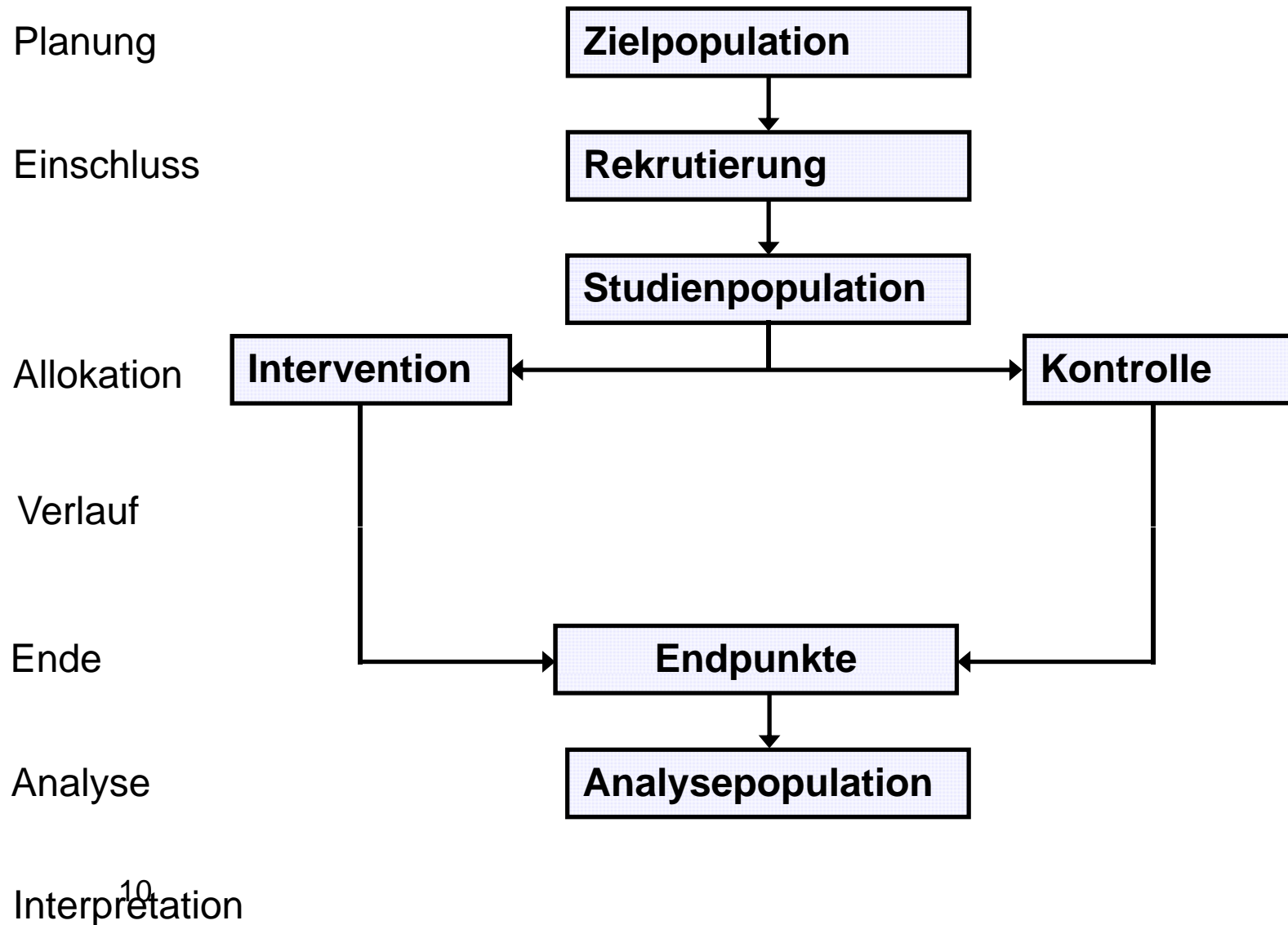
- **Randomisierte kontrollierte Studie (RCT)**
- **Kohortenstudie**
- **Register**

Evidenzkraft

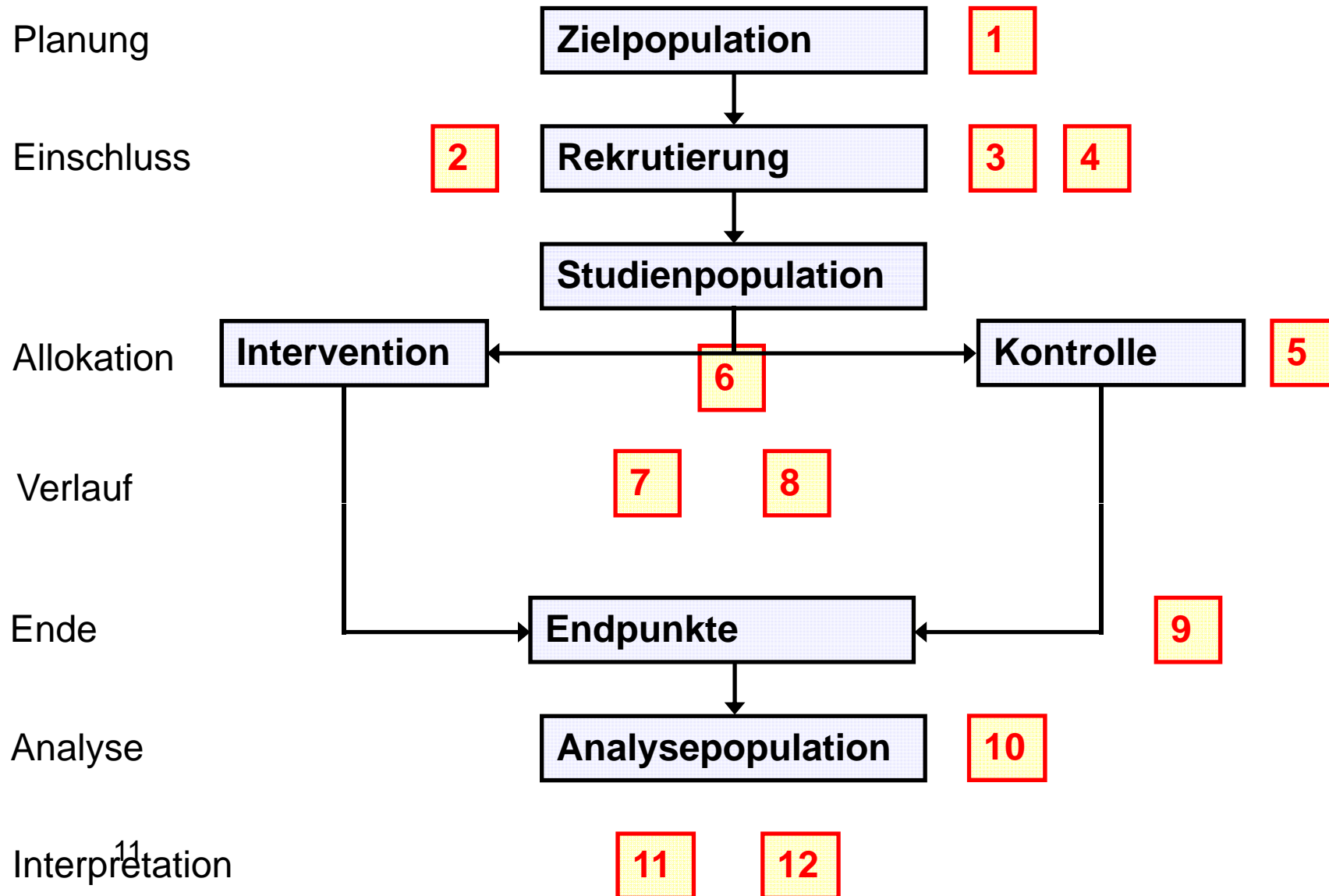


Repräsentativität

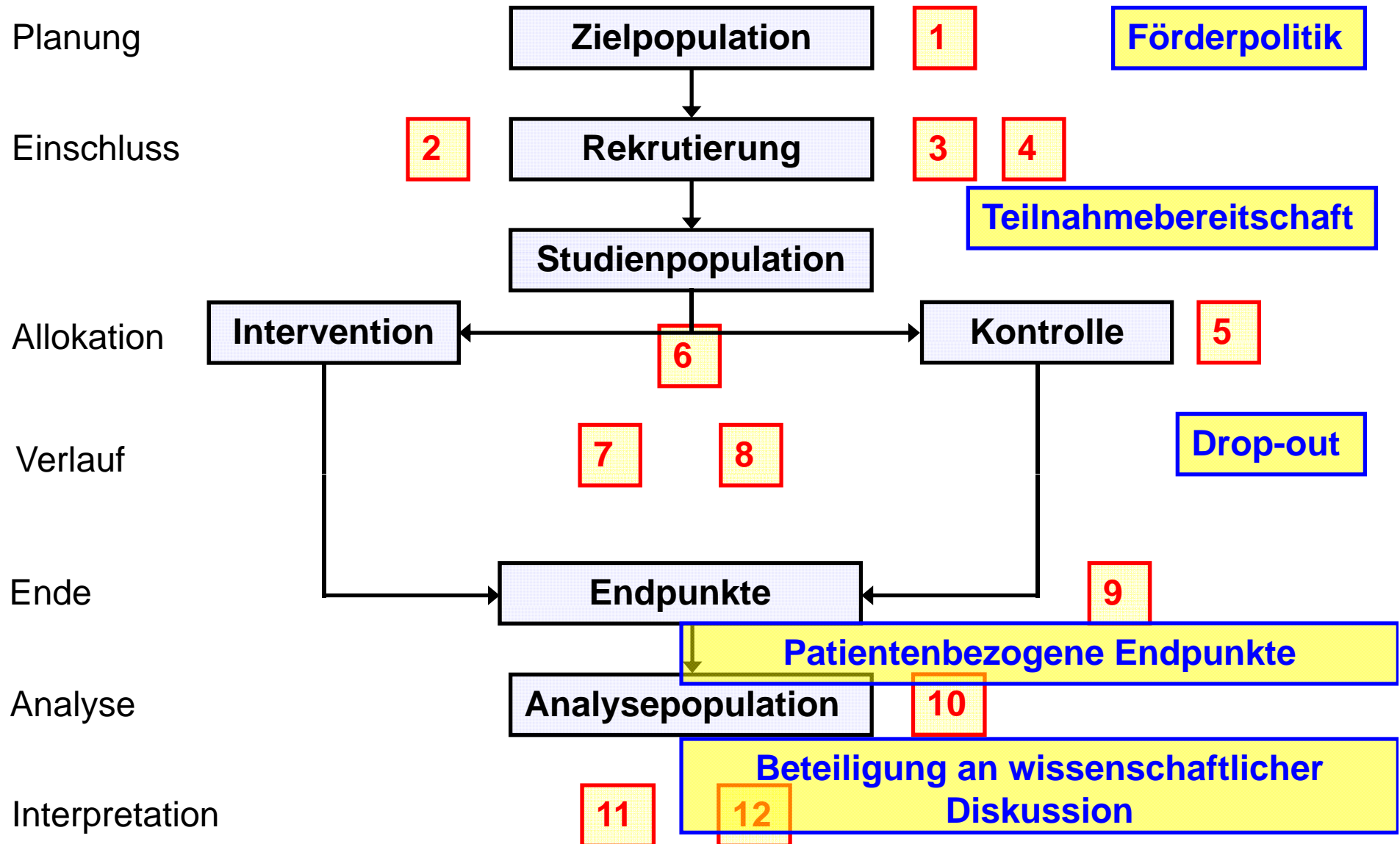
Klassische RCT – Randomized Controlled Trial



Klassische RCT - Gefahrenstellen



Klass. RCT – Gefahrenstellen - Partizipationspforten



Studiendesigns für Comparative Effectiveness Trials

- **Randomisierte kontrollierte Studie (RCT)**

- **Kohortenstudie**

- **Register**

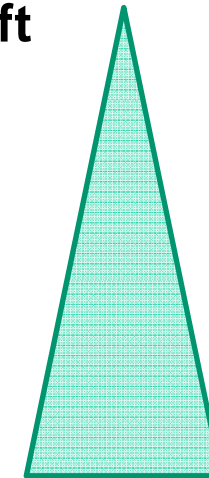
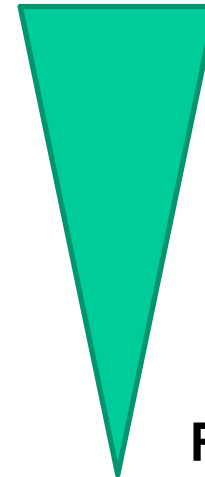
- **(Integrierte) Pilot-Studien, Adaptive Designs**

- **Präferenz-Studien, z.B. Comprehensive Cohort Designs**

- **Wartelisten-Studien**

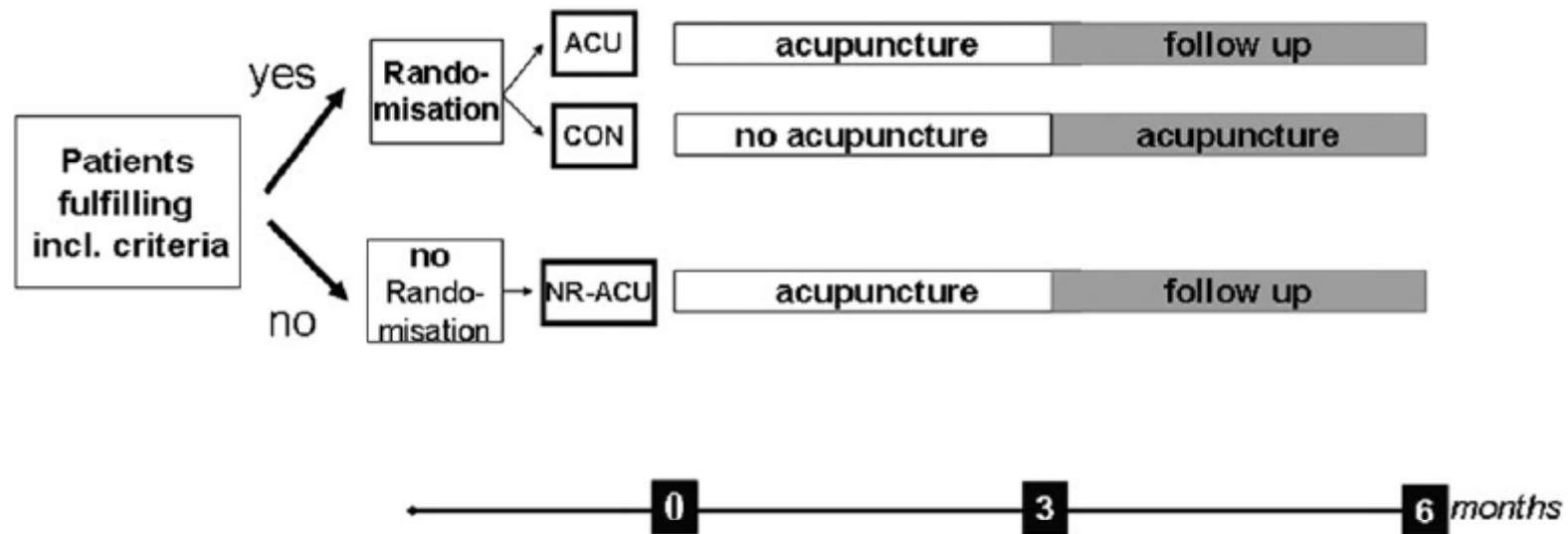
- **N:1-Studien**

Evidenzkraft



Repräsentativität

Ein Beispiel: Akupunktur-Studie Präferenz-Studie + Warteliste



Ann Allergy Asthma Immunol. 2008;101:535–543.

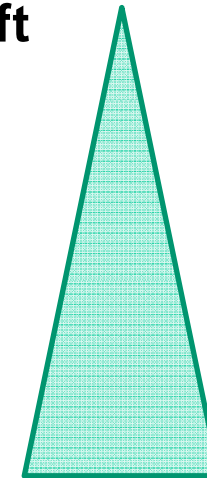
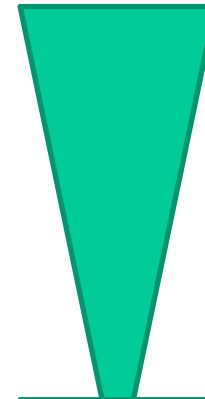
Am J Epidemiol. 2006;164:487–496.

Pain. 2006;125:98–106.

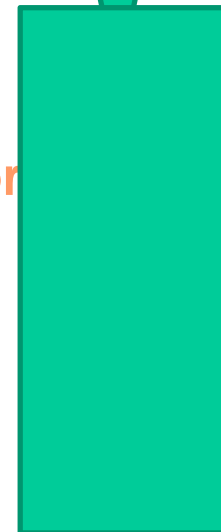
Studiendesigns für Comparative Effectiveness Trials

- **Randomisierte kontrollierte Studie (RCT)**
- **Kohortenstudie**
- **Register**
- **(Integrierte) Pilot-Studien, Adaptive Designs**
- **Präferenz-Studien, z.B. Comprehensive Cohort Studies**
- **Wartelisten-Studien**
- **N:1-Studien**

Evidenzkraft



repräsentativität



Studiendesigns für Comparative Effectiveness Trials

- **Komplexe Interventionen**
- **Clusterrandomisierte Studien**

Ein Beispiel :
New Zealand Housing Insulation and Health Study
BMJ 2007;334:460-4

Pilot-Studie + Cluster-Randomisation + Warteliste
Single blind

Studiendesigns für Comparative Effectiveness Trials

- Komplexe Interventionen
- Clusterrandomisierte Studien
- Stepped wedge designs
- Studienprogramme mit Lernspiralen

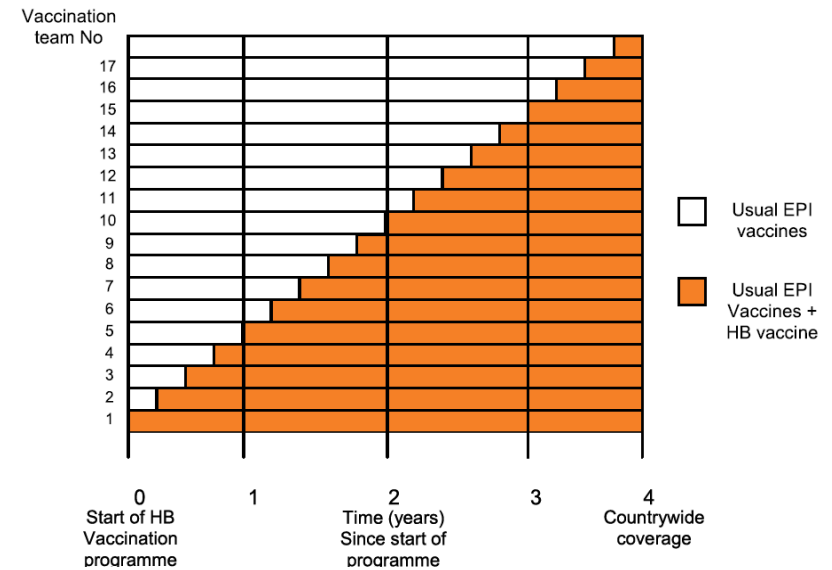
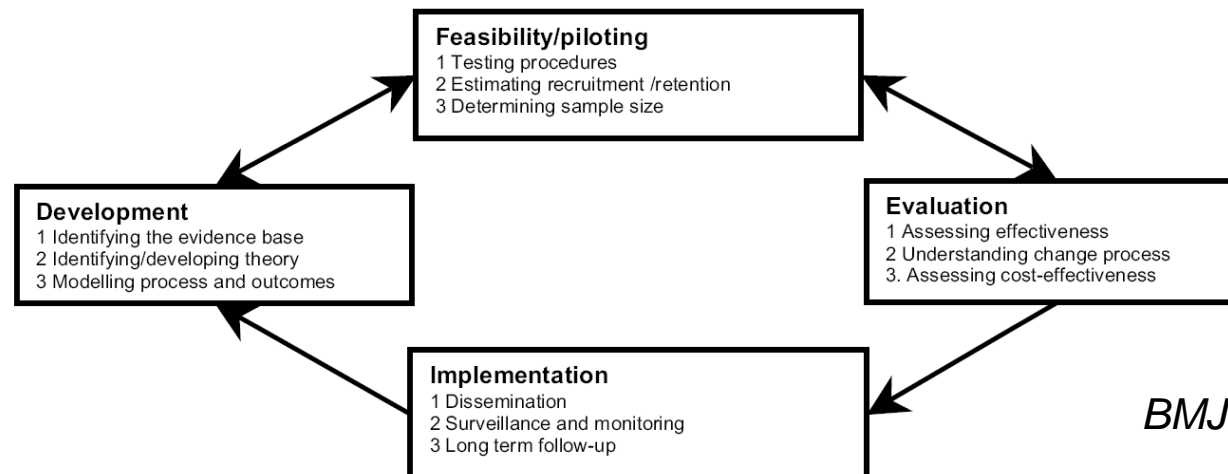


Figure 1 Key elements of the development and evaluation process



BMJ 2008;337:a1655

Studiendesigns für Comparative Effectiveness Trials

- Komplexe Interventionen
- Clusterrandomisierte Studien
- Stepped wedge designs
- Studienprogramme mit Lernspiralen

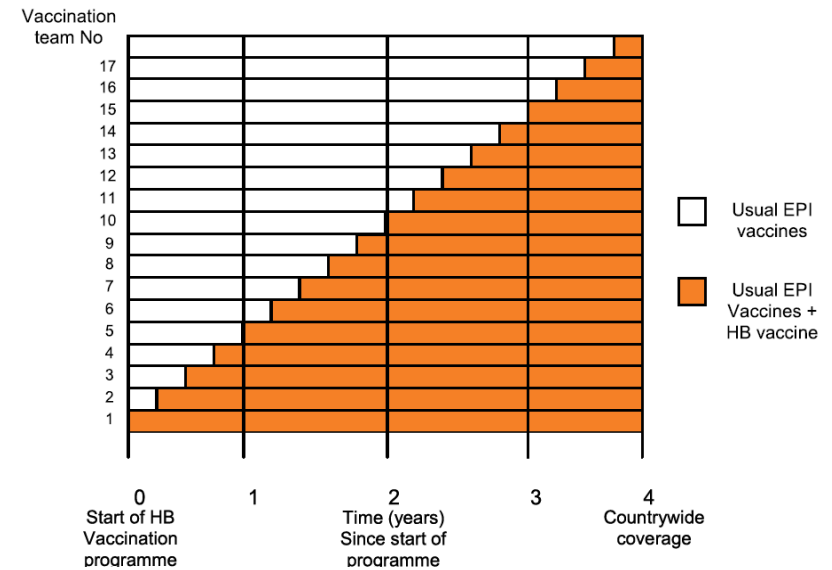
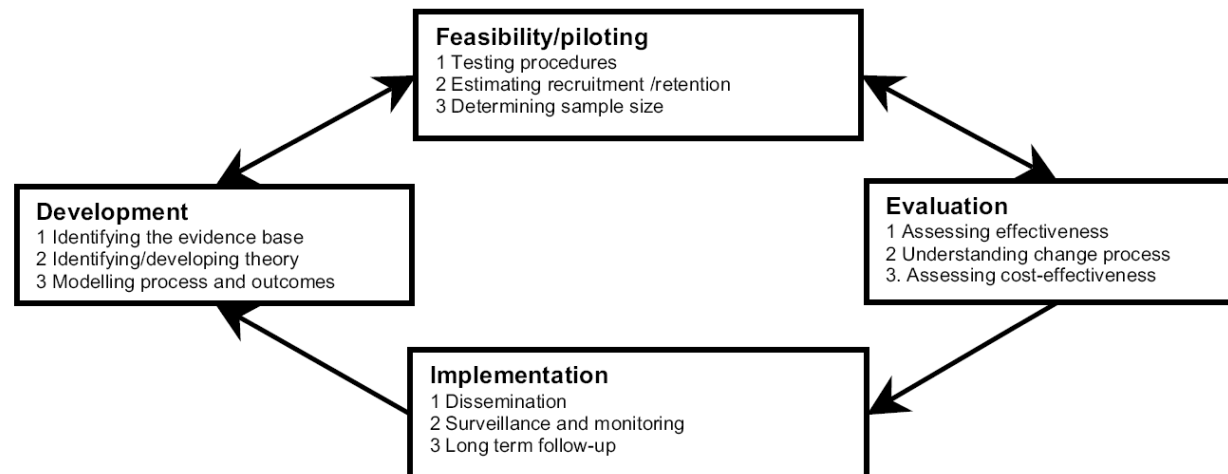


Figure 1 Key elements of the development and evaluation process



Was wünscht sich der Igel?





Deutsche Vereinigung
für Rehabilitation
– DVfR –

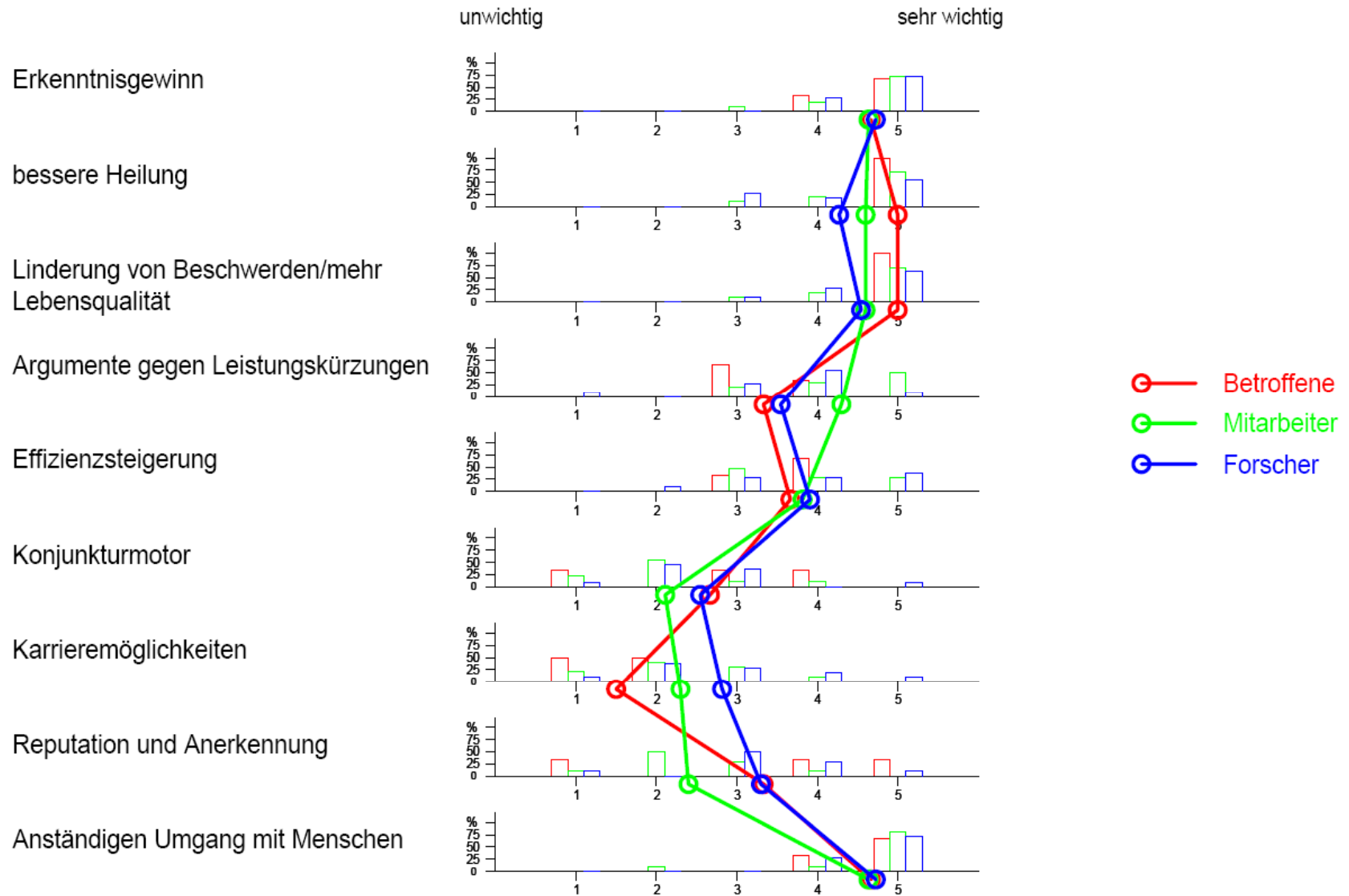


„Forschen und beforscht werden“

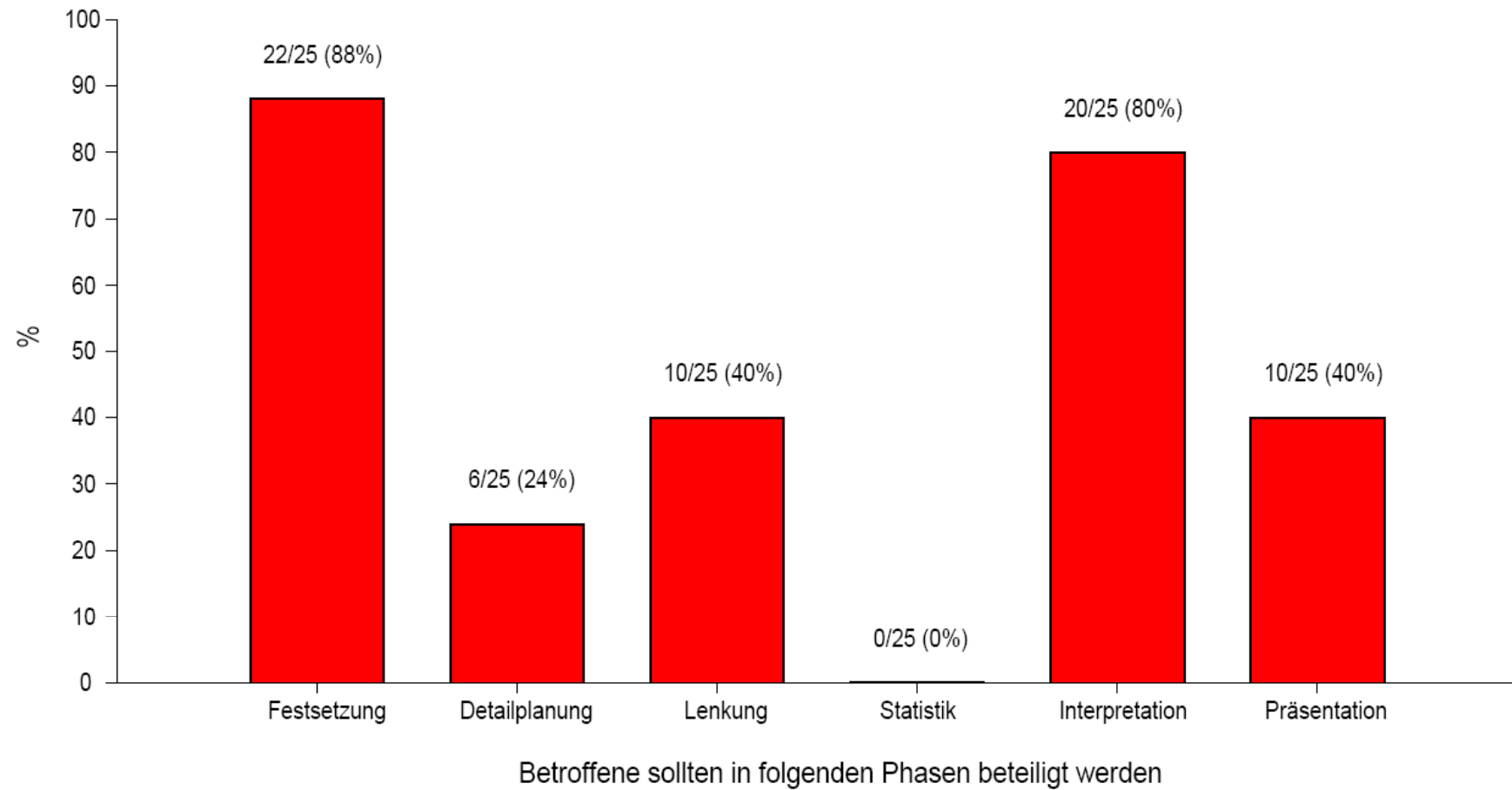
**Betroffene, Forscher und Praktiker
im Bereich Rehabilitation im Austausch**

HausRheinsberg, 28.02. - 29.02.2008

Selbstauskunft: Ich erwarte von der Forschung in erster Linie



Betroffene sollten nach meiner Meinung vordringlich
in folgenden Phasen des Wissenschaftsprozesses beteiligt werden



Was wünscht sich der Igel?



Respekt!