

Schwerpunkt IIc

Patientenberichtete Studienendpunkte - Stand in Forschung und Praxis

Thomas Kohlmann*

Institut für Community Medicine, Universität Greifswald

Zusammenfassung

Patientenberichtete Studienendpunkte werden immer häufiger in klinischen Studien berücksichtigt. Die zur Messung dieser Studienendpunkte verfügbaren Instrumente reichen von der Erfassung einfacher Symptome oder Beschwerden bis hin zur Erfassung komplexer Konstrukte, z.B. bei der Messung der gesundheitsbezogenen Lebensqualität. „Generische“ Instrumente sind übergreifend in einem weiten Spektrum von Erkrankungsgruppen anwendbar, während krankheits- oder zielgruppen-spezifische Verfahren für den Einsatz bei speziellen Krankheiten oder in besonderen Patientengruppen entwickelt wurden. Werden in Studien primär klinische Endpunkte untersucht, können die patientenberichteten Studienendpunkte wichtige Zusatzinformationen liefern oder als Prädiktor- und

Mediatorvariablen zum besseren Verständnis der Behandlungseffekte beitragen. Als primäre Zielgrößen fungieren die patientenberichteten Endpunkte in den Fällen, in denen der Behandlungseffekt nur oder am besten durch Selbstbeurteilung der Patienten (z.B. Schmerz, Erschöpfung, psychisches Befinden) erfasst werden kann. Zu den aktuellen Forschungsschwerpunkten auf dem Gebiet der patientenberichteten Endpunkte gehören u.a. die Neuentwicklung (krankheitsspezifischer) Instrumente, direkte Vergleiche der psychometrischen Eigenschaften verschiedener Instrumente, die Untersuchung der Kontextabhängigkeit der Messergebnisse und die Überprüfung der Anwendbarkeit der patientenberichteten Endpunkte in der klinischen Praxis.

Schlüsselwörter: Ergebnismessung, patientenberichtete Endpunkte, gesundheitsbezogene Lebensqualität, klinische Studien

(Wie vom Gastherausgeber eingereicht)

Patient-reported clinical trial endpoints – the current state of affairs in research and practice

Summary

Patient-reported outcomes are increasingly considered as endpoints for clinical studies. Instruments for measuring patient-reported outcomes range from simple assessments of discrete symptoms or signs to complex measures addressing multidimensional constructs such as health-related qua-

lity of life. While generic measures are designed to be applicable across a wide range of clinical conditions, disease- or population-specific instruments address health problems which are relevant for a particular disease or target group. Patient-reported outcomes can provide supplementary information

*Korrespondenzadresse. Leiter, Institut für Community Medicine, Universität Greifswald, Walther-Rathenau-Str. 48, 17487 Greifswald.
Tel.: +03834 87 7761; fax: +03834 86 7766.
E-Mail: Thomas.Kohlmann@uni-greifswald.de

from the patient's perspective when clinical endpoints are the primary focus of a study. As predictors and mediators of clinical outcomes they may contribute to the understanding of how patients benefit from treatment. They are included as primary endpoints when treatment effects comprise subjective phenomena such as pain, fatigue or psychological well-being.

Current research activities in the field of patient-reported outcomes include the development of new (disease-specific) instruments, head-to-head comparisons of psychometric properties of measures, analysis of the context-dependence of results, and application of patient-reported outcomes in clinical practice.

Key words: outcome assessment, patient-reported outcomes, health-related quality of life, clinical trial

(As supplied by publisher)

Einleitung

Patientenberichtete Studienendpunkte oder die im internationalen Sprachgebrauch als „patient-reported outcomes“ (PRO) bezeichneten Zielgrößen sind auch in Deutschland bereits seit mehr als zwei Jahrzehnten Gegenstand der wissenschaftlichen Diskussion. Unter dem Begriff der (gesundheitsbezogenen) Lebensqualität wurde ihr Stellenwert und ihre Eignung als Bewertungskriterium in der Medizin schon in den 1980er Jahren inhaltlich und aus methodischer Sicht untersucht [1,2]. Seither haben diese Endpunkte in der medizinischen Forschung, in der Versorgungspraxis und selbst in der Sozialgesetzgebung eine wachsende Bedeutung erlangt. Bei den patientenberichteten Studienendpunkten im Sinne dieses Beitrags handelt es sich um die Selbstbeurteilung eines oder mehrerer Aspekte des Gesundheitszustandes durch die Patienten zum Zwecke der Untersuchung des Nutzens oder Schadens einer medizinischen Intervention. Diese Definition orientiert sich an der Begriffsbestimmung für „patient-reported outcomes“ in der kürzlich von der amerikanischen Arzneimittelbehörde veröffentlichten Endversion einer Anleitung zur Verwendung dieser Studienendpunkte [3].

Gegenwärtige Bedeutung

Die gegenwärtige Bedeutung der patientenberichteten Studien-

endpunkte lässt sich mit zahlreichen Indikatoren belegen. So wuchs die Zahl der in MEDLINE unter dem Schlüsselwort „quality of life“ erfassten wissenschaftlichen Veröffentlichungen von rund 3.000 im Jahre 1999 auf über 8.000 im Jahre 2008. In der Datenbank ClinicalTrials.gov sind zu diesem Thema gegenwärtig etwa 3.500 Studien verzeichnet, darunter mehr als die Hälfte randomisierte kontrollierte Studien. In der deutschen Sozialgesetzgebung sollen der „Gesundheitszustand“ und die „Lebensqualität“ nach den Vorgaben des §35b SGB V bei der Bewertung des Patienten-Nutzens angemessen berücksichtigt werden.

Der über die reine Forschung hinausgehende Stellenwert und die „Maturität“ der patientenberichteten Studienendpunkte als Bewertungskriterium kann dabei nicht nur an ihrer Präsenz in der Gesetzgebung und im Bereich regulatorischer Prozeduren [3,4,5] abgelesen werden. Der Umstand, dass z.B. die Cochrane Collaboration seit 2004 eine eigenständige Arbeitsgruppe zu diesem Themenfeld eingerichtet oder das Deutsche Netzwerk Versorgungsforschung ein Memorandum zu konzeptuellen, methodischen und strukturellen Voraussetzungen der Lebensqualitätsmessung verabschiedet hat [6], verdeutlicht ebenfalls die Relevanz der patientenberichteten Studienendpunkte in der evidenzbasierten Medizin und Versorgungsforschung.

Taxonomie patientenberichteter Studienendpunkte

Die in der Medizin untersuchten patientenberichteten Studienendpunkte umfassen ein weites Spektrum sehr unterschiedlicher Konzepte. Sie reichen von der Erfassung einzelner Krankheits-symptome bis hin zu sehr komplexen multidimensionalen Konstrukten. Entsprechend vielgestaltig sind die Verfahren zur Messung dieser Studienendpunkte. Eine sehr nützliche Taxonomie patientenberichteter Studienendpunkte wurde in der Entwurfsfassung des bereits genannten Dokuments der amerikanischen Arzneimittelbehörde entwickelt [7]. Die patientenberichteten Studienendpunkte und die Instrumente zu ihrer Messung werden in dieser Taxonomie u.a. nach den Gesichtspunkten der Komplexität des erfassten Konstrukts und der Spezifität des Messverfahrens unterschieden (vgl. Abb. 1).

Studienendpunkte mit niedriger Komplexität ergeben sich, wenn einzelne Aspekte des Gesundheitszustands, z.B. Symptome wie Schmerz, Übelkeit oder andere Beschwerden erfasst werden sollen. Umfassendere Konzepte wie die Funktionseinschränkung im Alltag oder Depressivität haben einen höheren Komplexitätsgrad und werden in der Regel mit einer Fragebatterie erhoben. Zumeist beschreiben diese Konzepte eine einzelne Dimension oder Domäne des Gesundheitszustands. Mehrdimensionale Konstrukte sollen relevante Aspekte des

Download English Version:

<https://daneshyari.com/en/article/1095307>

Download Persian Version:

<https://daneshyari.com/article/1095307>

[Daneshyari.com](https://daneshyari.com)