

## Workshop der Arbeitsgruppe Therapeutische Forschung auf der GMDS 2021: **Nutzenbewertung mit Beobachtungsstudien?**

A Großhennig<sup>1</sup>, R Bender<sup>2</sup>, F Leverkus<sup>3</sup>

<sup>1</sup>Medizinische Hochschule Hannover, Hannover

<sup>2</sup>Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen, Köln

<sup>3</sup>Pfizer Deutschland GmbH, Berlin

Zur Bewertung des Nutzens medizinischer Interventionen stellen randomisierte kontrollierte Studien den Goldstandard dar. Nur bei diesem Design kann ohne weitere Annahmen von einer Strukturgleichheit der zu vergleichenden Therapiegruppen ausgegangen werden. Seit einiger Zeit wird darüber diskutiert, wie in bestimmten Situationen auch Beobachtungsstudien in der Nutzenbewertung berücksichtigt werden können. Durch die fehlende Randomisierung muss bei diesen Studien einer möglichen verzerrten Effektschätzung aufgrund von Confoundern – sofern möglich – methodisch begegnet werden. In diesem Workshop sollen zunächst unterschiedliche Perspektiven der frühen Nutzenbewertung auf der Basis von Beobachtungsstudien in kurzen Vorträgen dargestellt werden. Hierzu stellen Vertreter und Vertreterinnen vom IQWiQ, aus der pharmazeutischen Industrie und aus dem universitären Umfeld relevante Beispiele und mögliche methodische Lösungsansätze und deren Grenzen zur Berücksichtigung von Confoundern (z.B. E-Values, negative Kontrollen) vor. Im Anschluss an die Kurzvorträge werden dann in einer Podiumsdiskussion die Verfahren hinsichtlich Ihrer konkreten Anwendung bei der Nutzenbewertung diskutiert. Insbesondere sollen Chancen, Limitationen und offene Forschungsfragen dieser Ansätze erörtert werden.

Schlüsselwörter: Nutzenbewertung, Beobachtungsstudien, Confounding, Umgang mit Bias, Effektstärke

Ablauf:

- |               |   |
|---------------|---|
| 15:00 – 15:10 | Begrüßung   |
| 15:10 – 15:30 | Stefan Sauerland (IQWiG): „Nicht randomisierte Studien als Nachweis von Nutzen: Beispiele aus der Arbeit des IQWiG“ |
| 15:30 – 16:00 | Tobias Bluhmki (BMS): „Bias-Kontrolle und P-Wert-Kalibrierung am Beispiel von Negativ-Kontrollen“                   |
| 16:00 – 16:20 | Guido Skipka (IQWiG): „Überlegungen zu Sensitivitätsanalysen in Beobachtungsstudien in Form von E-Values“           |
| 16:20 – 17:00 | Ulrike Haug (BIPS): „Target Trial Konzept zur Untersuchung des Nutzens der Früherkennungskoloskopie“                |
| 17:00 – 17:30 | Diskussion  |