



**TECHNISCHE
UNIVERSITÄT
DRESDEN**



**UniversitätsCentrum
Evidenzbasierte
Gesundheitsversorgung**

**Universitätsklinikum
Carl Gustav Carus**
DIE DRESDNER.

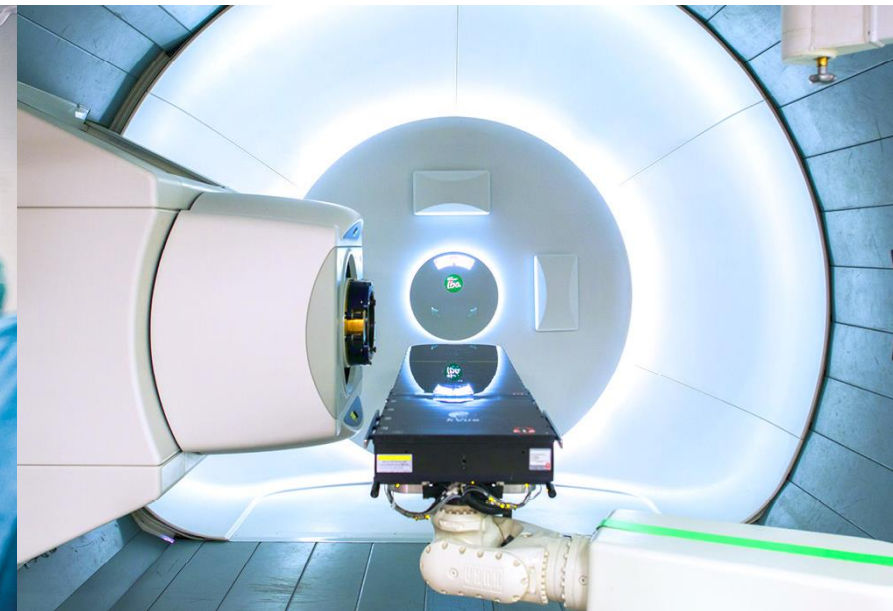


Von der Theoretisch besten zur praktisch besten Evidenz: Ein Ansatz zur Überwindung des Strukturkonservatismus in der Evidenzbasierten Medizin und Gesundheitspolitik

KCQ Konferenz 2025

Berlin, 26.09.2025

Prof. Dr. med. Jochen Schmitt, MPH



Statement zu Interessen

Materiell

- Institutionelle Fördermittel für wissenschaftlich-initiierte Forschung vom Innovationsfonds/ GB-A, BMG, BMBF, Freistaat Sachsen, DGOU, Sanofi, ALK und Pfizer.
- Teilnahme an Advisory Board Meetings der Firmen Sanofi, Lilly und ALK als Berater gegen ein persönliches Honorar.

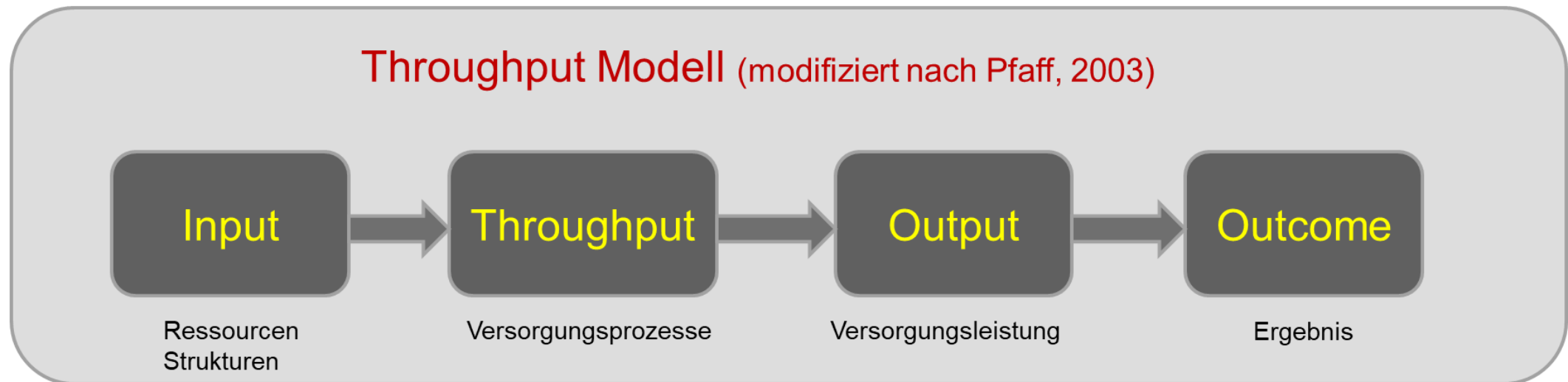
Immateriell

- Mitglied im Sachverständigenrat Gesundheit und Pflege
- Mitglied Regierungskommission für eine moderne und bedarfsgerechte Krankenhausversorgung (2023-2025)
- Stellvertretender Vorsitzender Deutsches Netzwerk Versorgungsforschung
- Wissenschaftliche Kooperation mit Akteuren der Selbstverwaltung und deren Instituten

Versorgungsforschung

Der „*komplexe Gegenstand*“ der Versorgungsforschung „*ist die gesundheitliche (...) Versorgung unserer Bevölkerung, ihre Planung, Organisation, Regulierung, Evaluation und Optimierung*“ (DFG, 2010)

Die *Angemessenheit (Appropriateness)* einer Gesundheitsleistung muss *im Kontext der Leistungserbringung* nachgewiesen werden: *Patientenmerkmale, Merkmale des Leistungserbringers, Merkmale der Arzt-Patient-Interaktion, Region* (SVR Gesundheit 2007)



Herausforderungen im Gesundheitssystem (Auswahl)

- Fachkräftemangel
- Geringe Effizienz
- Sektorengrenzen = Designfehler

- Betrifft Sektoren: ambulant – stationär – Reha (inklusive)
- Betrifft im ambulanten Sektor Primär – Sekundär
- Betrifft in allen Sektoren berufsgruppenübergreifend

- Unzureichende Steuerung und Monitoring

- Unzureichende Ambulanz

- Vergütung

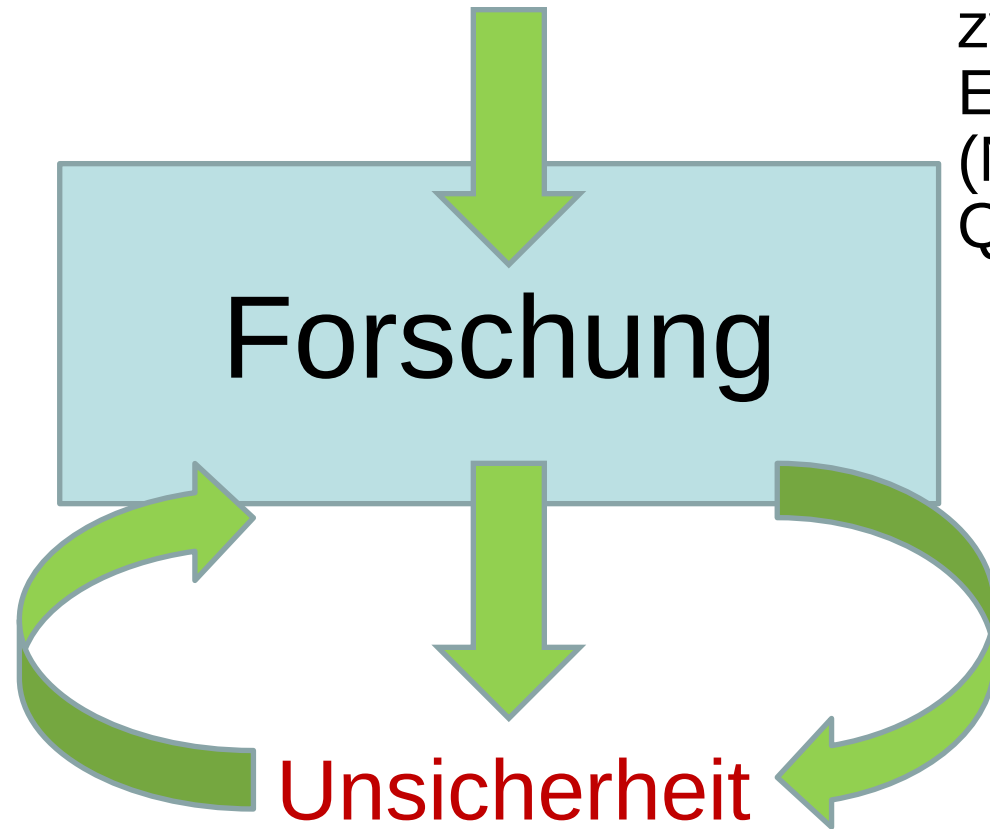
- Selektive Versorgung: Über- und Unterversorgung
- Fehlende digitale Transformation → Eine Ursache für

- Unzureichende Finanzierung (durch die Bundesländer)

- Unzureichende Resilienz

Keines dieser Probleme ist neu !
Das System ist quasi ohne Evidenz „gewachsen“
Reformfähigkeit des Systems ???

Unsicherheit über Kausalzusammenhang
zw. Intervention und Outcome;
Exposition und Outcome;
(Nutzen und Risiko; Angemessenheit;
Qualität und Wirtschaftlichkeit)



Wann ist die Unsicherheit klein genug, um

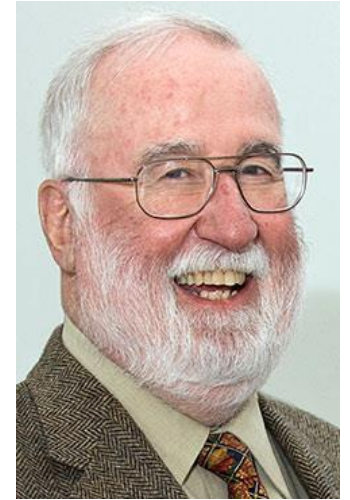
- Eine Intervention in Verkehr zu bringen
- Klinische Handlungen zu rechtfertigen
- Gesundheitspolitisch zu handeln (Pandemie)
- **Innovation der Gesundheitsversorgung auf Struktur- oder Prozessebene zu rechtfertigen ?**

Konvention: Wir handeln (nur dann), wenn ...

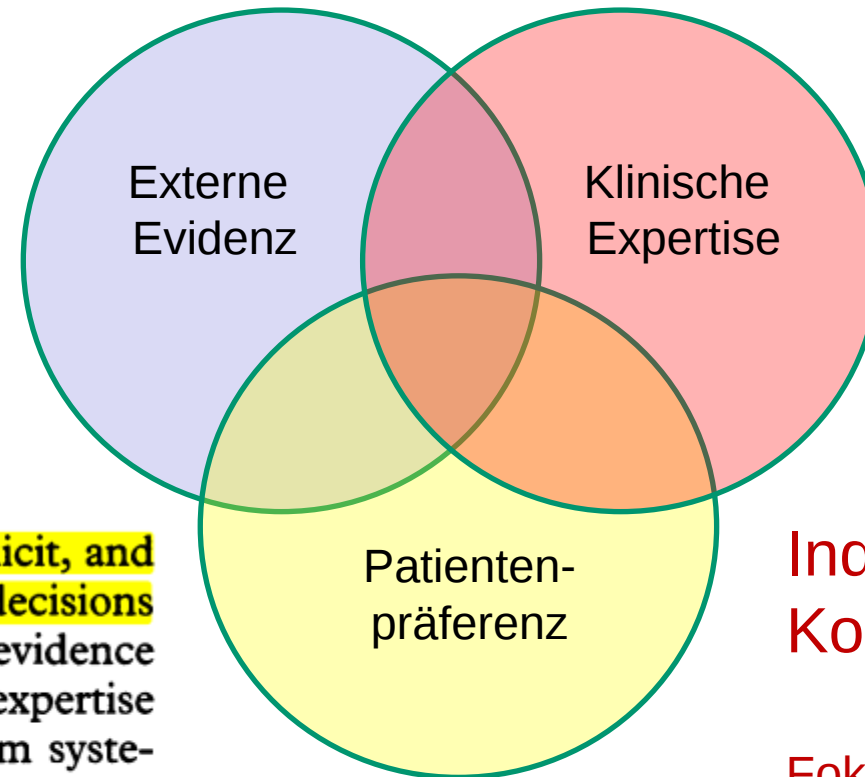
RCT, $p < 0.05$

Evidence based medicine: what it is and what it isn't

It's about integrating individual clinical expertise and the best external evidence



Quelle: http://fhs.mcmaster.ca/main/news/news_2015/david_sackett.html
(David Sackett
1934 - 2015)



Evidence based medicine is the conscientious, explicit, and judicious use of current best evidence in making decisions about the care of individual patients. The practice of evidence based medicine means integrating individual clinical expertise with the best available external clinical evidence from systematic research. By individual clinical expertise we mean the proficiency and judgment that individual clinicians acquire through clinical experience and clinical practice. Increased

Individualmedizinisches Konzept !

Fokus: Aus- und Weiterbildung von Medizinstudierenden und Ärzt:innen

Umsetzung auf Systemebene

→ Doppelte Reduktion auf EXTERNE EVIDENZ

1a Meta-Analyse zu Randomisierten Kontrollierten Studien

Randomisierung

1b Randomisierte kontrollierte Studie mit engem 95%-KI

→ Entscheidend für Allokationsentscheidungen
→ Momentaner Konsens: Unsicherheit nur dann ausreichend gering, wenn RCT vorliegt

2a Systematisches Review zu nicht RCTs

Prospektives Design

2b Einzelne nicht-randomisierte klinische Studie

3a Systematisches Review zu Fall-Kontroll Studien

Kontrollgruppe

3b Einzelne Fall-Kontroll Studie

4 Fallserie oder Einzelfallbeschreibung

Daten (Empirie)

5 Expertenmeinung (ohne Daten)

Keine Empirie

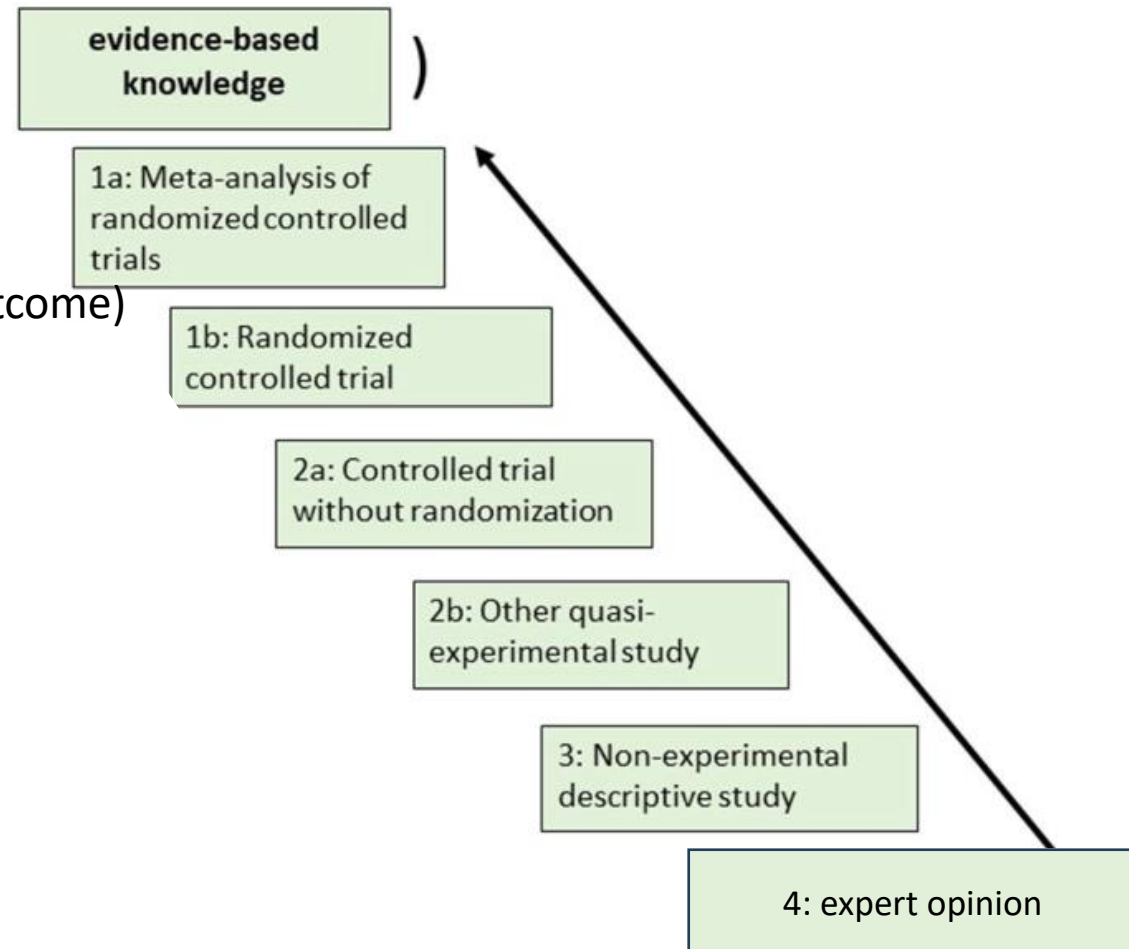
EbM-System - Empiriebasiertes Wissen

Funktioniert

- Für einfache, stabile Produkt-Interventionen
- Auf Mikrolevel
- Wenn genügend Zeit da ist
- Für einfache Zusammenhänge (Exposition → Outcome)

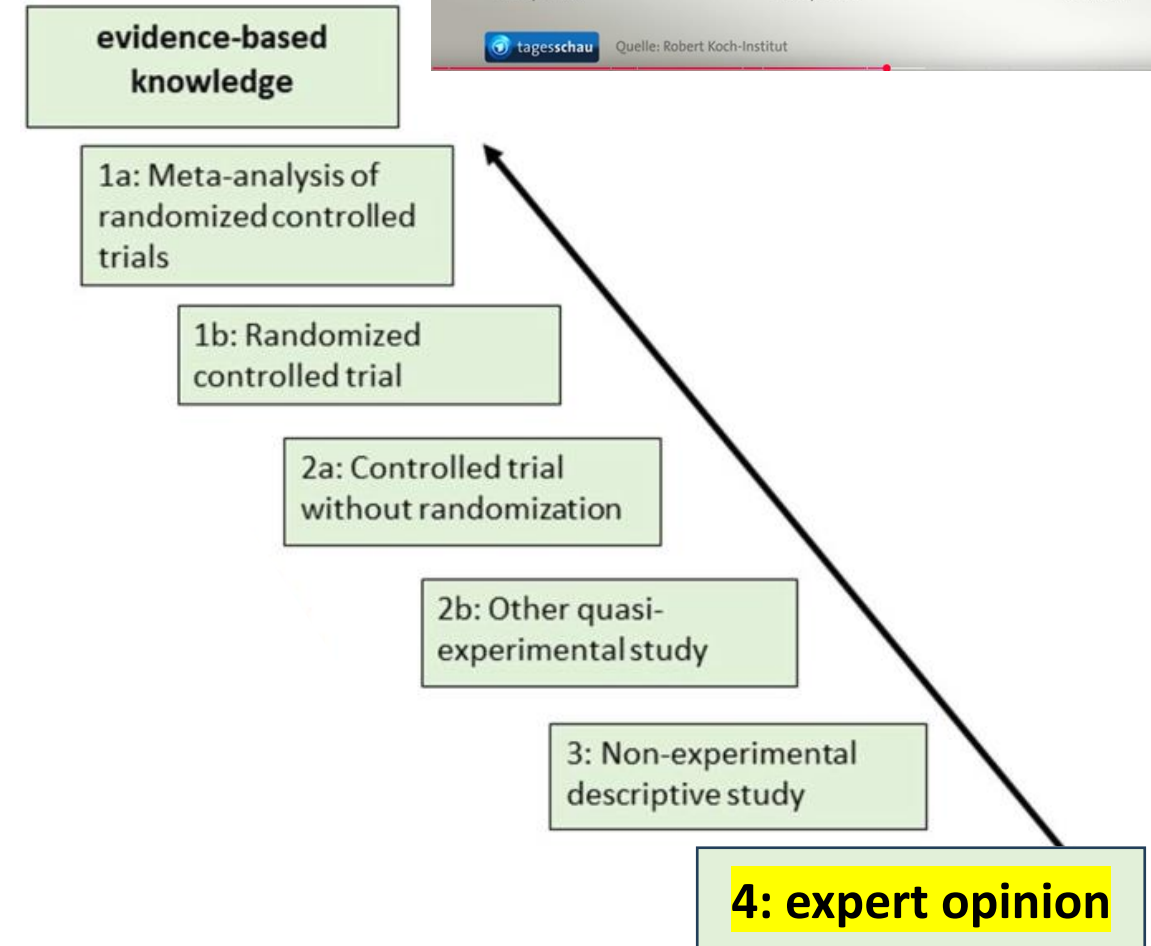
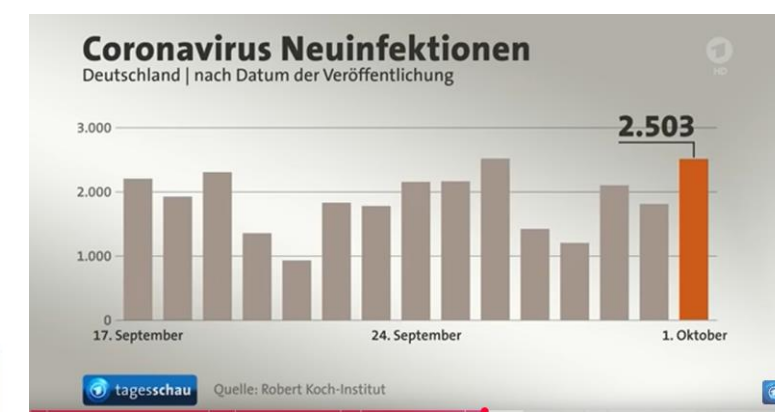
Funktioniert nicht oder deutlich begrenzter

- Für komplexe, agile Interventionen
- Für Struktur- und Prozessinnovationen
- Auf Meso- und Makrolevel
- Unter Zeitdruck (Krise)
- Für komplexere Zusammenhänge
- Für Implementierung

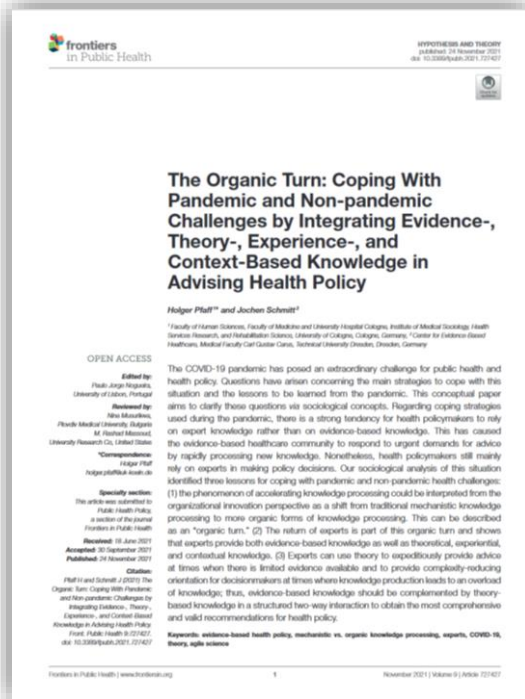


... und dann kam die Pandemie

01.10.2020



→ Drei aufeinander aufbauende Papiere von Pfaff und Schmitt



doi.org/10.3389/fpubh.2021.727427

Wissenschaftliche
Politikberatung
in Krisensituationen

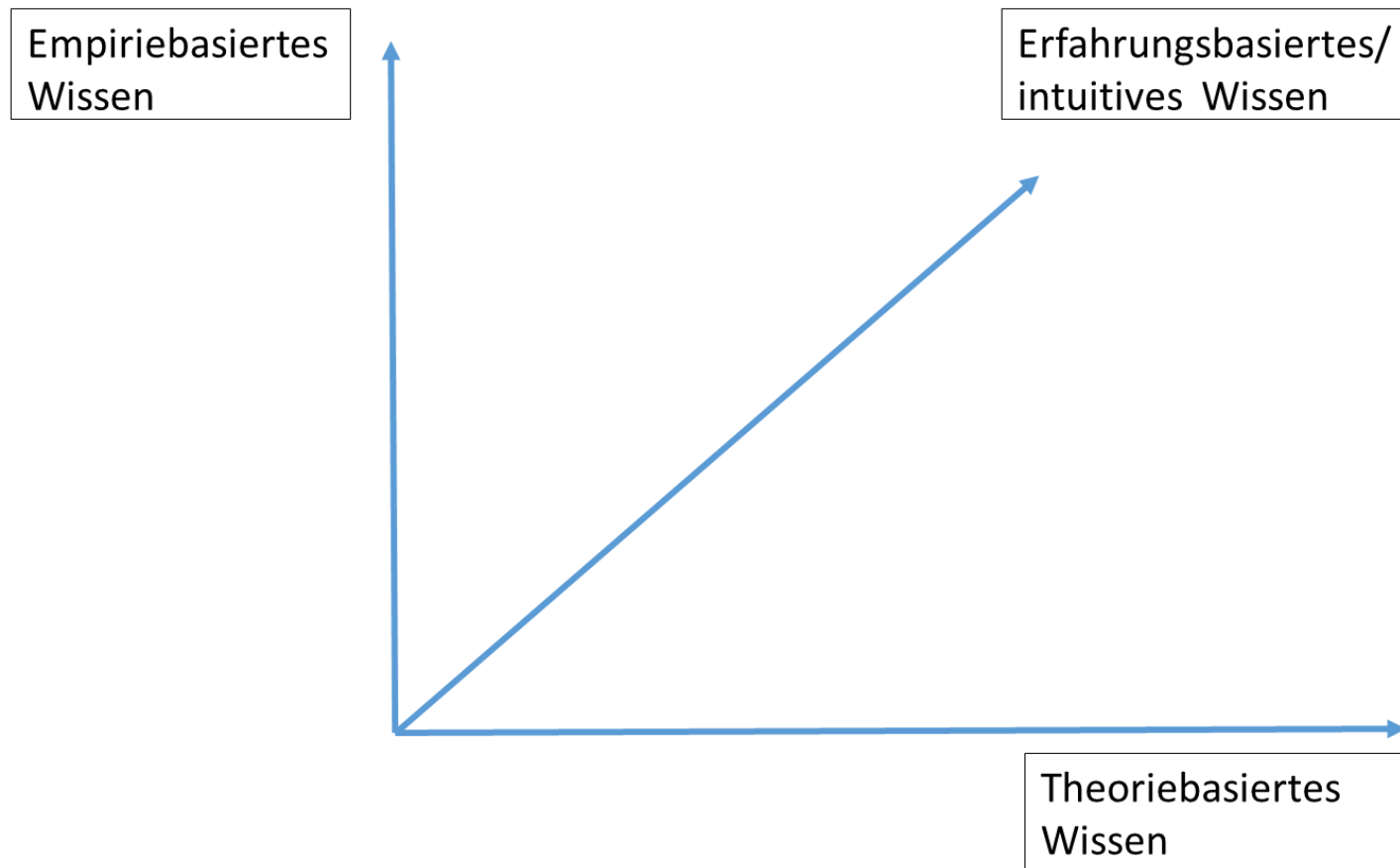
<https://doi.org/10.1111/jep.13890>

Bewertung und
Implementierung einfacher
und komplexer Interventionen

[DOI: 10.1055/a-2350-6435](https://doi.org/10.1055/a-2350-6435)

Herausforderungen bei
strukturellen Innovationen (vor
Hintergrund WIZEN-Erfahrung)

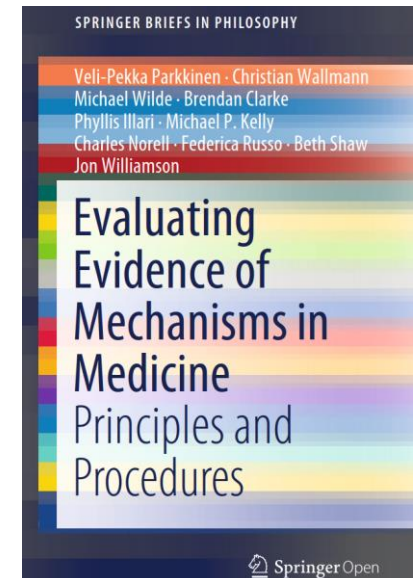
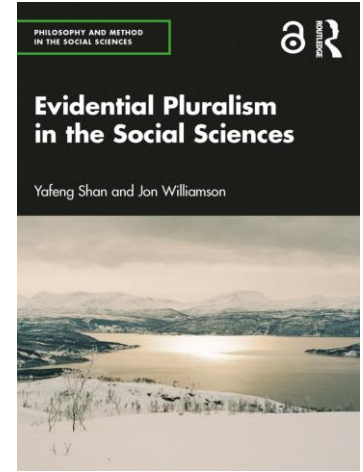
Rolle von Expertinnen und Experten bei wissenschaftlicher Politikberatung



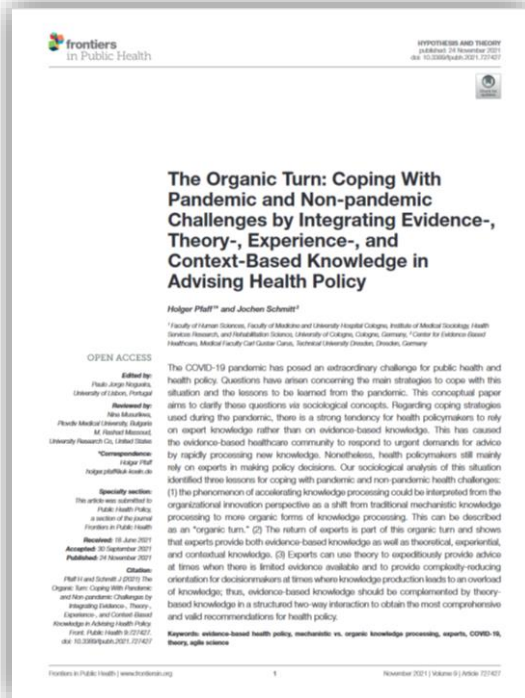
Internationale Entwicklung: EbM+

„Evidence of Mechanisms should be integrated with evidence of correlation to better assess causal claims“

- *Kausalität erfordert*
 - *empirischer Evidenz zur Frage **OB** ETWAS WIRKT*
 - *mechanistische Evidenz **WIE** ETWAS WIRKT*
- Mechanistische Evidenz: Erklärung von Zusammenhängen durch Naturwissenschaften, Sozialwissenschaften, Theorien
- Evidential Pluralism: Eine Evidenzart ist nicht ausreichend, um Kausalität darzustellen → Kombination von quantitativen Studien, qualitativen Studien und mechanistischen Studien.



→ Drei aufeinander aufbauende Papiere von Pfaff und Schmitt



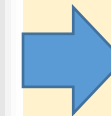
doi.org/10.3389/fpubh.2021.727427

Wissenschaftliche
Politikberatung
in Krisensituationen



<https://doi.org/10.1111/jep.13890>

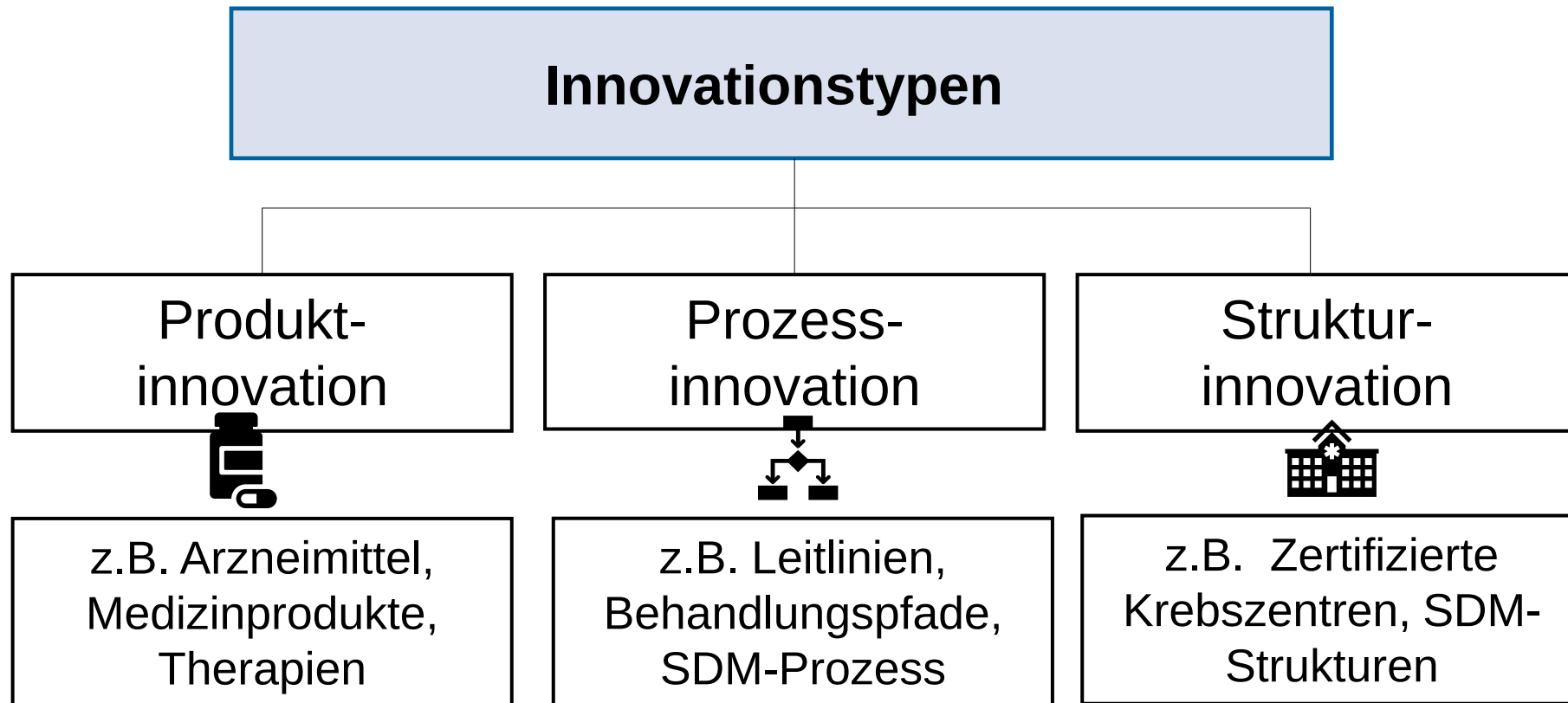
Bewertung und
Implementierung einfacher
und komplexer Interventionen



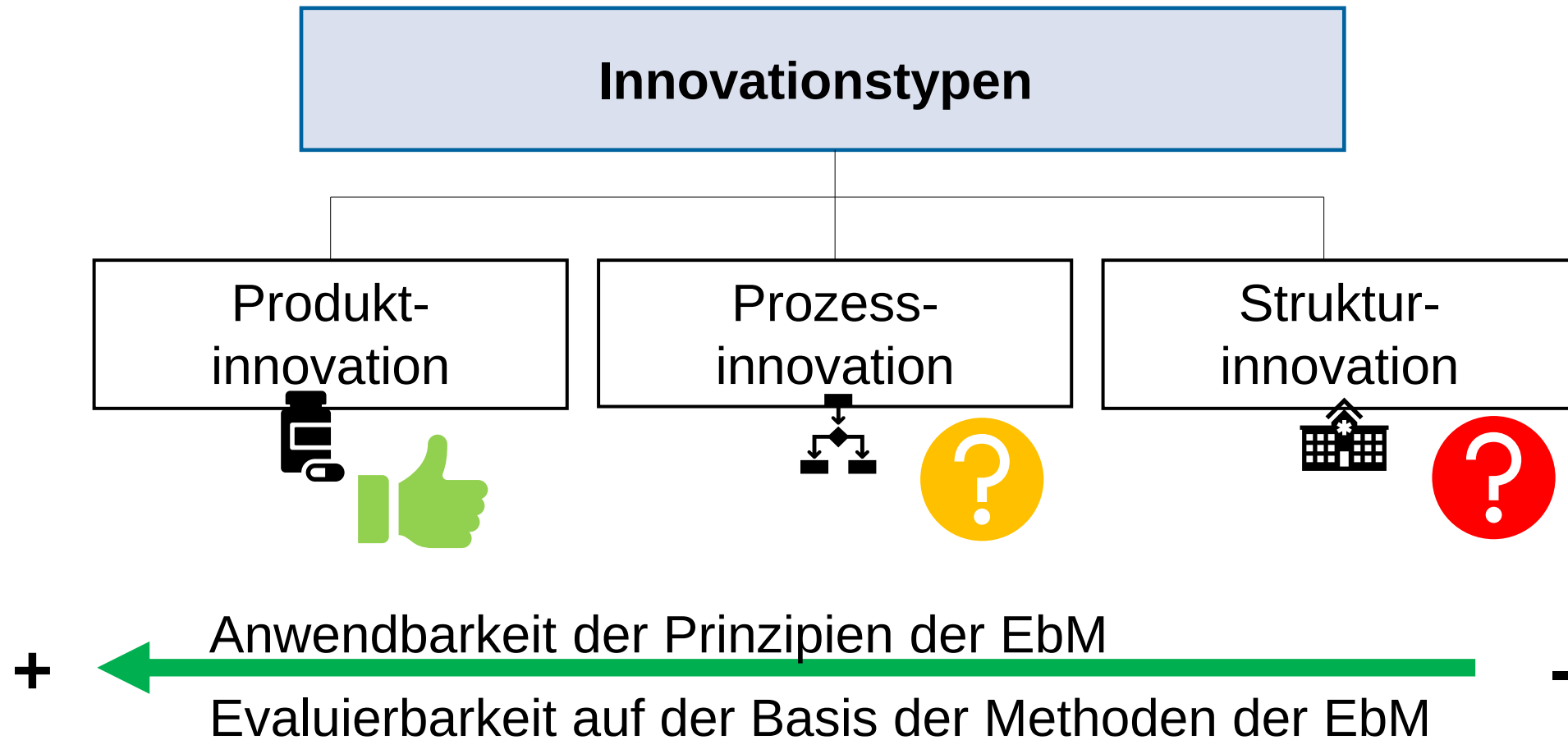
DOI: 10.1055/a-2350-6435

Herausforderungen bei
strukturellen Innovationen (vor
Hintergrund WIZEN-Erfahrung)

Zur Verbesserung der Gesundheitsversorgung benötigen wir drei Typen von Innovationen



Zur Verbesserung der Gesundheitsversorgung benötigen wir drei Typen von Innovationen



Von der theoretisch besten Evidenz zur praktisch besten Evidenz: ein Ansatz zur Überwindung des Strukturkonservatismus in der evidenzbasierten Medizin und Gesundheitspolitik

Holger Pfaff¹, Jochen Schmitt²

Thesen:

- EbM hat sich von einem Koordinatensystem für klinische Entscheidungen („clinical epidemiology“) zu einem generischen System für administrative Bewertungen zur Absicherung von gesundheitspolitischen Allokationsentscheidungen entwickelt
- EbM-Instrumentarium und Bewertungsrahmen sind für Produktinnovationen geeignet, weniger aber für Prozess- und Strukturinnovationen

Politik möchte gute Entscheidungen
mit möglichst geringer Unsicherheit treffen

Die für die Bewertung zuständigen Institute
möchten möglichst gut abgesicherte
Empfehlungen geben

Strukturkonservatismus

Von der theoretisch besten Evidenz zur praktisch besten Evidenz: ein Ansatz zur Überwindung des Strukturkonservatismus in der evidenzbasierten Medizin und Gesundheitspolitik

Holger Pfaff¹, Jochen Schmitt²

Strukturinnovationen ...

- sind viel weniger leicht manipulierbar (Zeit, Geld, gewachsene Strukturen)
- sind kaum zu verblinden
- sind auf Makrolevel nicht mit angemessener Power in Deutschland mittels RCT evaluierbar
- provozieren Widerstand, weil sie vorhandene Strukturen ergänzen oder ersetzen könnten
- können bei einer „Negativstudie“ massive Rückbaukosten erzeugen
- können aus ethischen und praktischen Gründen häufig nicht randomisiert werden
- ...

Von der theoretisch besten Evidenz zur praktisch besten Evidenz: ein Ansatz zur Überwindung des Strukturkonservatismus in der evidenzbasierten Medizin und Gesundheitspolitik

Holger Pfaff¹, Jochen Schmitt²

Folgen:

1. Ein in Bezug auf die Strukturen und Organisation weitgehend evidenzfrei entwickeltes Gesundheitssystem wird erhalten

weil

- Evidenz auf dem theoretisch höchsten Niveau (doppelblinde, individuell randomisierte Parallelgruppenstudie) nicht möglich ist
- Sehr einseitig ausschließlich auf die interne Validität geachtet wird

**2. Im Zweifelsfall ohne Evidenz entschieden wird, wenn höchste Evidenz nicht vorliegt
(Weinglasentscheidungen)**

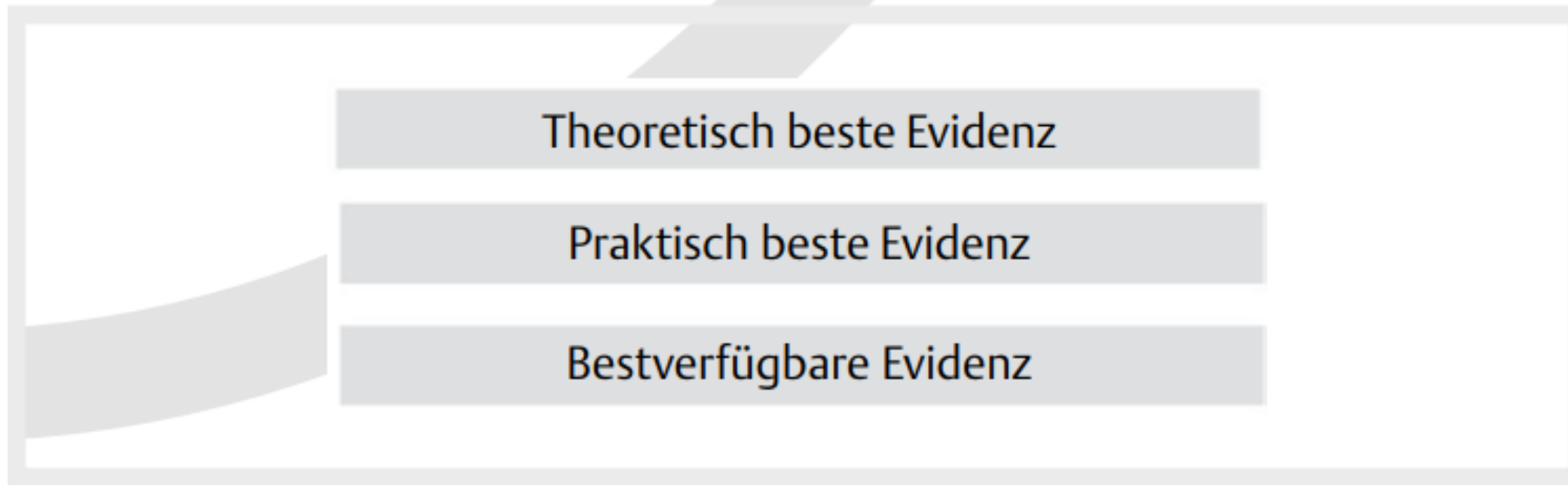
**3. Nicht-randomisierte Evidenz je nach politischem Ziel als handlungsleitend oder
weitgehend wertlos interpretiert wird (Bsp WIZEN und Brustkrebsscreening)**

Von der theoretisch besten Evidenz zur praktisch besten Evidenz: ein Ansatz zur Überwindung des Strukturkonservatismus in der evidenzbasierten Medizin und Gesundheitspolitik

Holger Pfaff¹, Jochen Schmitt²

Lösungsvorschlag

Explizite Unterscheidung von 3 Evidenzniveaus



Lösungsvorschlag: Grundgerüst eines handlungsleitenden Evidenzprogramms für Strukturinnovationen, bestehend aus 6 Schritten

1. Rahmenbedingungen für methodische Kompromisse bewusst machen und Konsequenzen für Studiendesign/Studienprogramm und für Empfehlungsstärke ableiten
2. Theoretisch und praktisch beste Evidenzniveau a priori festlegen mit Bezug auf die Strukturinnovation und deren Kontextfaktoren
3. Best-verfügbare Evidenz bestimmen (Rapid Review oder Scoping Review)
4. Unterschied zwischen bestverfügbarem und praktisch besterreichbarem Evidenzniveau darstellen, inklusive der jeweiligen Entscheidungsunsicherheit
5. Entscheider mit der Situation konfrontieren und gemeinsam Forschungsprogramm vereinbaren.
6. A) Wenn genügend Zeit ist: Forschungsprogramm abarbeiten und Ergebnisse politischen Entscheidern vorlegen
B) Wenn keine Zeit ist: Unter Würdigung der best-verfügbaren Evidenz, des Theoriestands und auch einer Modellierung/Auswirkungsanalyse transparent entschieden bzw. empfehlen

Fazit

- Versorgungsforschung strebt nicht nur nach der reinen Wahrheit, sondern hat auch die Aufgabe, die Gesundheitsversorgung evidenzbasiert weiterzuentwickeln.
- Die Beharrungskräfte innerhalb des Systems sind massiv
- Das Prinzip der theoretisch besten Evidenz kann bei Produktinnovationen gut und bei Strukturinnovationen schlecht angewendet werden
- Die Forderung nach Erfüllung dieses Prinzips führt entweder zur evaluationsbasierten Hilflosigkeit, nicht-evidenzbasierten Entscheidungen oder kritisierbaren Evaluationsergebnissen
- Vorschlag: Praktisch beste Evidenz statt theoretisch beste Evidenz
- Festgelegt durch einen multi-perspektivischen Konsensfindungsprozess

Danke!





**TECHNISCHE
UNIVERSITÄT
DRESDEN**



**UniversitätsCentrum
Evidenzbasierte
Gesundheitsversorgung**

**Universitätsklinikum
Carl Gustav Carus**
DIE DRESDNER.

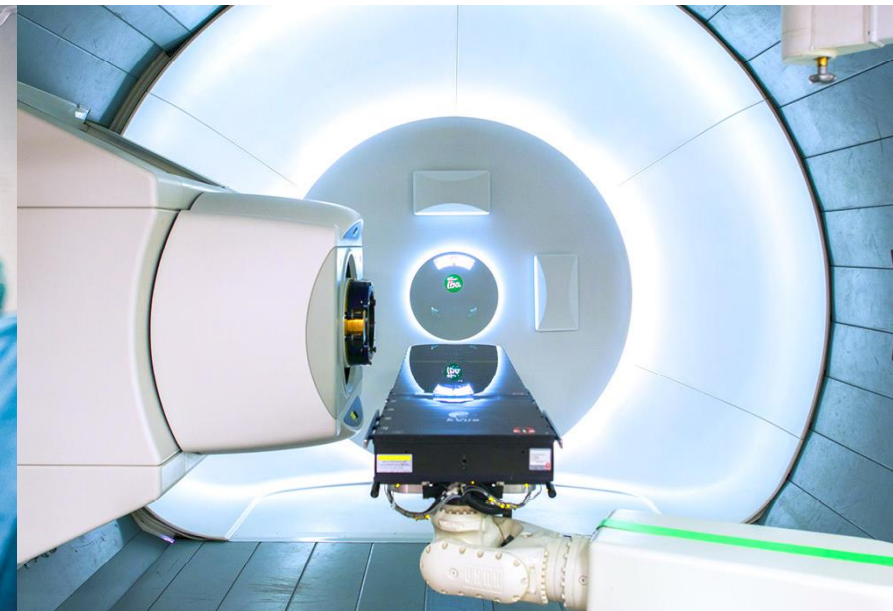


Von der Theoretisch besten zur praktisch besten Evidenz: Ein Ansatz zur Überwindung des Strukturkonservatismus in der Evidenzbasierten Medizin und Gesundheitspolitik

KCQ Konferenz 2025

Berlin, 26.09.2025

Prof. Dr. med. Jochen Schmitt, MPH



Herausforderungen bei der Generierung der theoretisch höchsten Evidenz und Konsequenzen für Studiendesign und Entscheidungsunsicherheit.

Hindernisse/Herausforderungen bei der Generierung der theoretisch höchsten Evidenz (ausgewählte Fälle)	Beispiel	Resultierende Limitation/ Risk of Bias (Beispiele)	Vorgeschlagene Strategien zur bestmöglichen Bewältigung von Barrieren/Herausforderungen im Studiendesign (Beispiele)	Konsequenzen für Interpretation, Unsicherheitsbewertung und Entscheidungsfindung
Komplexität der Intervention	Peer Review bei Diagnosestellung und Indikationsstellung (z. B. multidisziplinäre Tumorboards)	Der kausale Effekt verschiedener Interventionskomponenten kann nicht ermittelt werden	Beurteilung der Qualität und Vollständigkeit der Interventionskomponenten unter gleichzeitiger qualitativer Beschreibung möglicher Zusammenhänge	Die Grad der Unsicherheit ist nicht erhöht. Die Kausalität einzelner Komponenten kann nicht bestimmt werden (ist aber möglicherweise nicht relevant)
Instabilität der Intervention (über die Zeit)	Digitale Gesundheitsinnovationen (basierend auf KI-Methoden, einschließlich Aktualisierungen im Zuge des technologischen Fortschritts)	Die bewertete Intervention ist zum Zeitpunkt der systematischen Überprüfung nicht mehr gültig.	Strategien des Organic Turns und des agilen EbMs EBM: Rapid Reviews, Verwendung hochwertiger Theorien und EBM + -Studien	Vorläufige Unsicherheit akzeptieren; Verwendung einer Szenariomethode zur Projektion möglicher Zukunftsszenarien
Latenz zwischen der Einführung und der vollen Wirkung der Intervention	Qualitätssicherungsprogramme in Krankenhäusern	Fehlklassifikationsbias (z. B. aufgrund einer teilweise eingeführten Intervention); Bias in Richtung des Nulleffekts	Anlaufphase einplanen, um sicherzustellen, dass die zu untersuchende Intervention ihre volle Wirkung entfaltet (kann mehrere Jahre dauern)	Der tatsächliche Effekt der Intervention kann größer sein als der in der Studie bewertete Effekt; Überwachung der Auswirkungen im Verlauf des Studiums und später; eine Mischung aus summativen und formativen Bewertungen
Randomisierung ist aus ethischen Gründen nicht möglich	Hohe a priori Wahrscheinlichkeit, dass die Intervention überlegen ist (z. B. Erstbehandlung von Krebs in zertifizierten Zentren ¹⁾)	Confounding aufgrund bekannter und unbekannter Determinanten des Ergebnisses im Zusammenhang mit der Intervention (jedoch nicht im Kausalpfad)	Berücksichtigung aller möglichen/ bekannten Störfaktoren auf Patienten-, Anbieter- und regionaler Ebene im Studiendesign	Berücksichtigung der Wahrscheinlichkeit eines residuellen Confounding oder eines Confounding durch nicht gemessene Determinanten, um die Studienergebnisse und die damit verbundenen Empfehlungen für die praktische Entscheidungsfindung qualitativ zu verändern
Randomisierung ist aus kulturellen und politischen Gründen nicht möglich.	Interventionen auf Meso- und Makroebene in dezentralen Gesundheitssystemen			
Randomisierung ist aus rechtlichen Gründen nicht möglich	Pflege-geführte Krankenstationen in Deutschland			
Unmöglichkeit, die Intervention zu maskieren/ gegenüber den Studienteilnehmenden zu verblinden	Gilt im Allgemeinen für Strukturinterventionen auf Meso- und Makroebene	a) Kontamination der Kontrollgruppe → Bias zugunsten des Nulleffekts (H0) b) Hawthorne effect ² → Bias zugunsten der Alternativhypothese (H1)	Reduzierung der Wettbewerbsanstrengungen in der Kontrollgruppe, Verwendung einer historischen Kontrollgruppe, Verwendung von CRT, Verwendung von Strategien zur Reduzierung des Hawthorne-Effekts	Der tatsächliche Effekt der Intervention kann a) größer sein als der in der Studie bewertete Effekt oder b) auf lange Sicht kleiner sein (vom Avantgarde- zum Routineeffekt)
Datenschutzbestimmungen machen eine valide Auswertung relevanter Outcome-Daten unmöglich	Ursachenspezifische Mortalität im Zusammenhang mit Eingriffen in die Gesundheitsstruktur in Deutschland	Der Effekt der Intervention auf diesen Endpunkt kann nicht beurteilt werden.	Berücksichtigung verfügbarer Surrogat-Ergebnisse und alternativer Outcomes	Basierung der Empfehlungen auf Surrogat-Ergebnissen: (langfristig ggf. Änderung der Datenschutzbestimmungen)
Eingeschränkte Power aufgrund begrenzter Beobachtungseinheiten (gilt v. a. für Interventionen auf Makroebene)	Reorganisation der Gesundheitsplanung auf Bundes- und Landesebene	Falsch negatives Studienergebnis	Anwendung von Simulations-/ Modellierungsmethoden basierend auf Studienergebnissen und hochwertigen Theorien	Wenn die Effektgröße moderat bis groß ist und Simulationen und hochwertige Theorien die Wirksamkeit unterstützen, können starke Empfehlungen gegeben werden, auch wenn die statistische Signifikanz nicht bestimmt werden kann.