

우리나라 비교효과연구의 정의 도출

2012.11.30

한림의대 가정의학과 김수영

서론 : 비교효과연구에 대한 다양한 정의

TABLE 2-1 Definitions of CER

Organization	Definition
Congressional Budget Office	A rigorous evaluation of the impact of different options that are available for treating a given medical condition for a particular set of patients. Such a study may compare similar treatments, such as competing drugs, or it may analyze very different approaches, such as surgery and drug therapy. The analysis may focus only on the relative medical benefits and risks of each option, or it may also weigh both the costs and the benefits of those options. In some cases, a given treatment may prove to be more effective clinically or more cost-effective for a broad range of patients, but frequently a key issue is determining which specific types of patients would benefit most from it. Related terms include cost-benefit analysis, technology assessment, and evidence-based medicine, although the latter concepts do not ordinarily take costs into account.
IOM Roundtable on Evidence-Based Medicine	The comparison of one diagnostic or treatment option to one or more others. In this respect, primary comparative effectiveness research involves the direct generation of clinical information on the relative merits or outcomes of one intervention in comparison to one or more others, and secondary comparative effectiveness research involves the synthesis of primary studies to allow conclusions to be drawn. Secondary comparisons of the relative merits of different diagnostic or treatment interventions can be done through collective analysis of the results of multiple head-to-head studies, or indirectly, in which the treatment options have not been directly compared to each other in a clinical evaluation, and inferences must be drawn based on the relative effect of each intervention to a specific comparison, often a placebo.
American College of Physicians	Comparative effectiveness analysis evaluates the relative (clinical) effectiveness, safety, and cost of two or more medical services, drugs, devices, therapies, or procedures used to treat the same condition. Although the use of the term <i>comparative effectiveness</i> broadly refers to the evaluation of both the relative clinical and cost differences among different medical interventions, it is notable that most comparative effectiveness research engaged in and used by stakeholders in this country focuses solely on evaluating relative clinical differences to the exclusion of cost factors.

서론: 한국적 상황에 맞는 정의

- 포함요소, 목적, 중재, 범위, 결과(outcome), 방법론 등
- 연구 기획, 연구 실행, 우선순위 선정, 인프라 구성 등에 필요
- 포함되는 것을 선정하는 것이 목적이고 포함되지 않았다고 배제되는 것은 아님

방범

- 패널 구성
- 설문 작성
- 합의 방법론 : RAND법

전문가 패널

- 총 10인
 - 국내 임상연구 분야 전문가
 - 학계 : 4인 (임상의사 1명, 예방의학 2명, 보건경제 1명)
 - 기관 : 4인 (심평원, 공단, 보사연, 보의연)
 - 연구진 : 2인 (김수영, 이상무)

- 지침의 정의

- IOM 정의(2009)

- Patient-Centered Outcomes Research Institute (PICORI)

정의

- Agency for Healthcare Research and Quality (AHRQ) 정의

- Federal Coordinating Council for Comparative Effectiveness Research 정의 (2009)

- European network Health technology assessment (EUnetHTA) 정의

설문내용: 포함 요소

- 중재의 범위(임상범위, 신의료 기술 등)
- 세팅(의사결정 세팅, 일상적 진료 등)
- CER의 목적 (정보 제공 등)
- 연구방법론 (근거의 합성, 창출 등)
- 결과(outcome)(이득, 위해, 비용 등)

설문내용: 중재

- 임상 범위(진단, 예방, 모니터링, 치료 등)
- 중재의 종류(약물, 기기, 검사, 수술 등)
- 서비스의 효과(교육프로그램, IT기술 등)
- 보건의료시스템 효과(일차 진료, 지불보상제도 등)

설문내용: 중재 범위

- 신의료 기술(식약청 품목허가 이후)
- 기존(existing) 기술
- 쇠퇴(obsolete) 기술

설문내용: 목적

- 환자에게 정보 제공
- 진료제공자에게 정보제공
- 정책결정자(보험자 포함)에게 정보제공
- 의료기술평가에 정보제공
- 임상진료지침 개발
- 일반 국민에게 정보제공

설문내용: 연구의 범위

- Head-to-head RCT 등 일부 효능(efficacy) 연구
- 효과(effectiveness) 연구
- 가치 연구(비용-효과성 등)

설문내용: 결과

- 결과 수준
 - 인구집단수준결과
 - 하위집단(subgroup)결과
 - 개인수준결과
- 결과의 단계
 - 대리(surrogate) 결과
 - 환자 보고 결과 (patient-reported outcome[PRO], 만족도, 삶의 질 등)
 - 건강관련(사망, 주요 질병발생 등) 결과
- 결과의 내용
 - 이득
 - 위해
 - 비용

설문내용: 연구방법론

- 근거의 합성(체계적 문헌고찰 등)
- 근거 창출(임상시험연구)
- 근거 창출(관찰연구)
- 개별환자 특성 연구(genomics)
- 간접비교연구

제 1라운드 설문

- 우편 설문
- 필요성, 적합성에 대한 9점 척도

1) 비교효과연구 (CER) 정의에 포함되어야 하는 요소는?

중재의 범위(임상범위, 신의료 기술 등)	<input type="checkbox"/> 1	<input type="checkbox"/> 2	<input type="checkbox"/> 3	<input type="checkbox"/> 4	<input type="checkbox"/> 5	<input type="checkbox"/> 6	<input type="checkbox"/> 7	<input type="checkbox"/> 8	<input type="checkbox"/> 9
	필요성이 매우 적다				필요성이 매우 크다				

제 2라운드

- 대면 회의
- 1차 라운드에서 동의에 이른 것 제외
- 중앙값과 개별 평가 값 제시

판단 기준

- 동의 여부
 - 동의(agreement): 9명 중 2명 이하가 3점 구역(1~3, 4~6, 7~9) 밖에 존재하는 경우
 - 비동의(disagreement): 3명 이상이 7~9점 사이에 있고, 다른 3명 이상이 1~3에 위치하는 경우
 - 불확실(uncertain): 동의, 비동의 이외의 모든 경우

판단 기준 2

- 7-9점 구역에서 동의 된 경우 ⇒ 포함
- 1-3점 구역에서 동의 된 경우 ⇒ 포함하지 않음
- 4-6점 구역에서 동의 된 경우 ⇒
포함 여부에 대한 결정을 내릴 수가 없다.
필요할 경우 포함 가능

결 과

결과: 포함 요소

- 중재의 범위: 동의, 포함
- 세팅: 적절, 포함
- CER의 목적: 적절, 포함
- 연구방법론: 적절, 포함
- 결과(outcome): 적절, 포함

중재

- **임상 범위: 적절, 포함**
- **중재의 종류: 적절, 포함**
- **서비스의 효과: 동의 불확실**
- **보건의료시스템 효과: 동의 불확실**

중재 범위

- 신의료 기술: 동의, 포함
- 기존(existing) 기술: 동의, 포함
- 쇠퇴(obsolete) 기술: 비동의

목적: 모두 동의, 포함

- 환자에게 정보 제공
- 진료제공자에게 정보제공
- 정책결정자(보험자 포함)에게 정보제공
- 의료기술평가에 정보제공
- 임상진료지침 개발
- 일반 국민에게 정보제공

설문내용: 연구의 범위

- Head-to-head RCT 등 일부 효능(efficacy)연구 :
불확실
- 효과(effectiveness) 연구: 동의, 포함
- 가치 연구(비용-효과성 등): 동의, 포함

설문내용: 결과

- 결과 수준
 - 인구집단수준결과: 동의, 포함
 - 하위집단(subgroup)결과: 동의, 포함
 - 개인수준결과 : 불확실
- 결과의 단계
 - 대리(surrogate) 결과: 불확실
 - 환자 보고 결과(PRO): 동의, 포함
 - 건강관련결과: 동의 , 포함
- 결과의 내용
 - 이득: 동의, 포함
 - 위해: 동의, 포함
 - 비용: 동의, 포함

설문내용: 연구방법론

- 근거의 합성: 동의, 포함
- 근거 창출: 동의, 포함
- 개별환자 특성 연구(genomics): 불확실
- 간접비교연구: 동의

정의

- 비교효과연구는 일상 진료 환경에서 특정 질병 또는 상태를 예방, 진단, 치료, 모니터링 하기 위한 둘 이상의 중재들 (약물, 의료기기, 검사, 수술 등)의 이득, 위해 혹은 비용 측면에서의 건강관련 결과를 인구집단수준이나 하위집단수준에서 비교하는 것이다.
- 비교효과연구는 임상시험이나 관찰연구를 통해 근거를 창출하거나 체계적 문헌고찰 혹은 경제성 평가를 통해 근거를 합성하여 환자, 진료제공자, 정책결정자, 일반국민에게 정보를 제공하고 보건의료정책 결정, 의료기술평가와 임상진료지침 개발에 도움을 주는 것으로 한다.

설명문

- 비교 효과에 대한 정의에서 주요한 개념 중의 하나는 효과(effectiveness)와 효능(efficacy)의 차이에 대한 것이다. 효능이란 특정한 의료적 중재가 이상적 상황 속에서 환자에게 제공할 수 있는 이득의 정도를 의미한다. 실험적 접근을 통하여 동질성이 높은 환자 집단을 대상으로 중재 이외에 결과에 영향을 미칠 수 있는 다른 요소들을 통제하고 상당히 엄격한 프로토콜을 준수하여 처치를 수행한 후 평가된다. 효과란 특정한 의료적 중재가 일상의 다양한 임상 현장에서 환자에게 제공할 수 있는 이득의 정도를 의미한다. 실제 임상 현장에 높은 연관성과 영향력을 지니며 효능에 대한 근거에 비해 상대적으로 낮은 내적 타당도와 높은 외적 타당도를 나타낸다.
- 일상진료 환경(routine care setting)이란 임상시험 환경과 같은 실험적 환경, 이상적 환경이 아닌 일반적이고 일상적인 실제 임상 현장을 의미한다.
- 건강관련결과(health related outcome)이란 연구에서 사망, 질병의 발생 등과 같은 특정 중재의 목표가 되는 효과 측정치로서 임상적 종결점(clinical endpoint), 최종 종결점(final endpoint)과 유사한 의미로 사용되고 혈압 수치의 감소이나 혈청지질 수치의 감소와 같은 대리 결과(surrogate outcome)에 대한 반대 의미로 사용된다. 건강관련결과에는 건강관련 삶의 질 같은 환자보고결과(Patient Report Outcome[PRO])도 포함된다.
- 비교효과연구를 위해서는 인구집단수준에서의 결과를 근거로 이용하는 것이 개인 간 변이를 종합하여, 보다 일반화된 결과로 요약 가능하다는 점에서 개연성이 높고 활용도를 제고할 수 있는 자료를 산출할 수 있다. 인구집단수준의 결과를 보다 구체화하기 위해서는 대상자의 성, 지역, 직업, 교육 등 사회인구학적 요인을 비롯하여 응답자의 성격을 구분할 수 있는 세분화된 특성에 따라 하위집단수준에서 제시할 수도 있다.
- 관찰연구란 연구자가 참여자를 특정 중재법에 대해 배정하지 않고 관찰한 결과를 보고한 것이다.

고찰

쟁점 1: 보건서비스연구와 보건체계 연구

- IOM(2009): to improve the delivery of care
- AHRQ: research studies that compare ways to deliver health care
- 이번 정의: 보건서비스연구, 보건체계연구(불확실)

쟁점 2: 경제성연구

- CER 정의: 약 10개 정도
- ACP 정의를 제외하면 경제성 연구를 포함한 것은 없음
- 가치 연구(비용-효과성 등): 동의, 포함

쟁점 3: 간접비교

- 간접비교가 포함되는지 명백히 언급한 정의 없음
- AHRQ 등 일부 포함 가능성에 대한 언급 있음
(신속한 의사 결정 필요할 때)
- 간접비교연구: 필요성 정도(9점 척도)에서 5점으로 동의

감사합니다.