CHƯƠNG TRÌNH ĐÀO TẠO PHƯƠNG PHÁP
NGHIÊN CỨU KHOA HỌC Y HỌC

NGHIÊN CỨU BẰNG CHỨNG ĐỜI THỰC (REAL WORLD EVIDENCE)

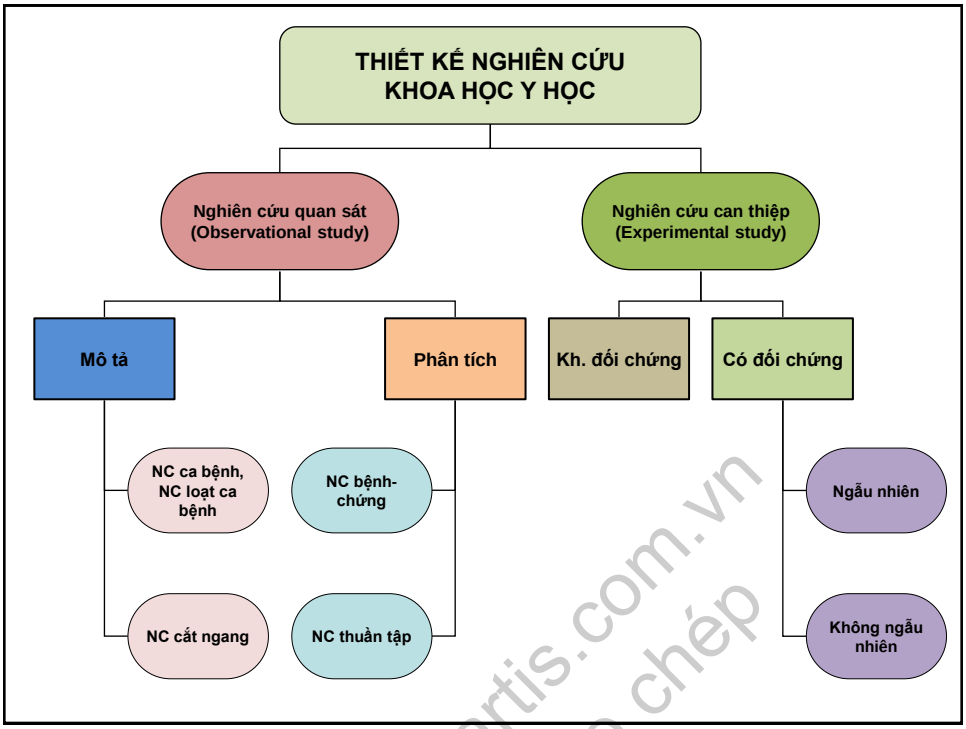
GS.TS. Hoàng Văn Minh
Hiệu trưởng Trường Đại học Y tế công cộng
Viện trưởng Viện Khoa học Sức khỏe, Bệnh viện Bạch Mai

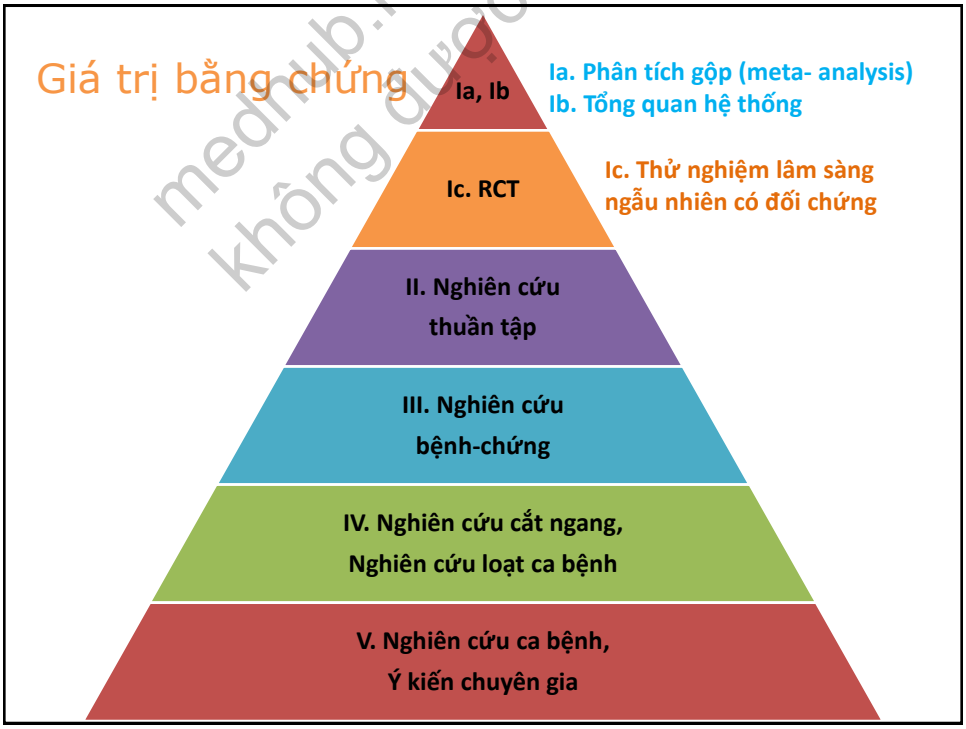
Tài liệu tham khảo được cung cấp bởi báo cáo viên khi có yêu cầu.
Bài báo cáo được chuẩn bị với sự hỗ trợ của Novartis
VN2106216822

medhub.novartis.com.vn
Không được sao chép

Mục tiêu

1. Trình bày được một số khái niệm có liên quan đến nghiên cứu bằng chứng đời thực
2. Phân tích ưu, nhược điểm của nghiên cứu bằng chứng đời thực





medhub.novartis.com.vn
không được sao chép

Thử nghiệm lâm sàng ngẫu nhiên có đối chứng (RCT): Lý tưởng, hiệu lực **(efficacy)**

Bằng chứng đời thực (Real World Evidence): Thực tế, hiệu quả **(effectivennes)**

WHAT DOES REAL WORLD EVIDENCE OFFER IN COMPARISON TO CONVENTIONAL RANDOMISED CONTROLLED TRIALS?

RCTs	RWE
Prospective data collection	Prospective and/or retrospective data collection
Limited segment of the population is eligible for inclusion	Broader and more representative of the patient population
Good patient adherence and compliance	Real world patient adherence and compliance
Important for demonstrating efficacy and safety for drug licensing	Demonstrates the benefits of a drug in everyday clinical practice
Limited ability to investigate costs	Ideal for showing value within local health economy

medhub.novartis.com.vn
Không được sao chép

Real-world

Real-world data

"Data that are collected outside the controlled constraints of conventional randomised clinical trials to evaluate what is happening in normal clinical practice"[1]

Ever-increasing role

- In health care decisions that affect patients' access to therapies[1,2]
- For monitoring post market safety and adverse events
- To develop more effective clinical trial designs and observational studies

Randomised clinical trials

Can it work?

Real-world data

Does it work?

[1]ABPI. At: https://www.abpi.org.uk/media/1378/vision-for-real-world-data.pdf (Accessed on 01 October 2020); [2]Luce et al. The Milbank quarterly. 2 (88) 2010

6

Khái niệm

REAL-WORLD DATA (RWD)

SỐ LIỆU ĐỜI THỰC

Số liệu thu thập từ quan sát thực hành lâm sàng thường quy (không thuộc các thử nghiệm lâm sàng, giảm thiểu sai chệch thông qua việc đảm bảo tương đồng giữa 2 nhóm, can thiệp được thực hiện trong ĐK lý tưởng, được kiểm soát)

REAL-WORLD EVIDENCE (RWE)

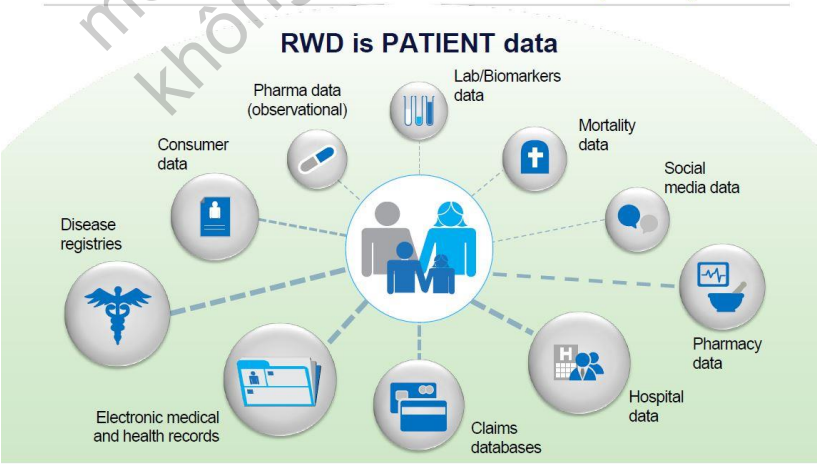
BẰNG CHỨNG ĐỜI THỰC

Bằng chứng từ phân tích, phiên giải số liệu đời thực

medhub.novartis.com.vn
không được sao chép

Bối cảnh ứng dụng CNTT

Sources of Real-World Data (RWD)



Source: IMS Health

Phân loại: Mục tiêu

Nghiên cứu khám phá về hiệu quả điều trị (Exploratory Treatment Effectiveness Studies)

Không có giả thuyết nghiên cứu, khám phái để chuẩn bị các nghiên cứu RTC trong tương lai

Nghiên cứu kiểm định giả thuyết về hiệu quả điều trị Hypothesis Evaluating Treatment Effectiveness (HETE) Studies

Có giả thuyết nghiên cứu về hiệu quả và mức độ hiệu quả. Kiểm định giảithuyết về hiệu quả trên một nhóm dân cư xác định, trong hoàn cảnh, điều kiện nhất định

medhelp.novartis.com.vn
không được sao chép

Phân loại: Thiết kế

Nghiên cứu quan sát

Sử dụng các số liệu sẵn có từ bệnh án điện tử, cơ sở dữ liệu thanh toán
Không kiểm soát được can thiệp, chỉ phân tích mối tương quan, liên quan

Thử nghiệm lâm sàng đời thực (Pragmatic clinical trial= pRCT)

Để kiểm định giải thuyết là can thiệp có hiệu quả trong thực tế hay không (Thường có sử dụng ngẫu nhiên hóa)

Phân loại: Nghiên cứu can thiệp

- Thử nghiệm lâm sàng đời thực (Pragmatic clinical trial= pRCT): Là nghiên cứu RWE nhằm kiểm định hiệu quả điều trị trong điều kiện đời thực, chủ yếu phân tích mối tương quan giữa điều trị và kết quả trong điều kiện đời thực.
- Khác với RTC (explanatory trials): Giải thích quan hệ nhân quả trong điều kiện lý tưởng trong các cần có các tiêu chuẩn lựa chọn và loại trừ nghiêm ngặt để khống chế nhiễu.

medhub.novartis.com.vn
không được sao chép

Phân loại: Nghiên cứu quan sát

Hồi cứu	Tiến cứu
1. Có số liệu hay không? 2. Có được thu thập vào thời điểm mong muốn không? 3. Số liệu có được thu thập một cách chính xác và nhất quán không?	Có cơ hội có số liệu chính xác và nhất quán

Ưu điểm

- Chi phí thấp
- Có thể đánh giá được tính an toàn và hiệu quả dài hạn, đặc biệt với các nghiên cứu về các biến cố hiếm
- Có thể theo dõi dài hạn nên giảm số địa bàn nghiên cứu và nhờ vậy tiến hành dễ dàng hơn

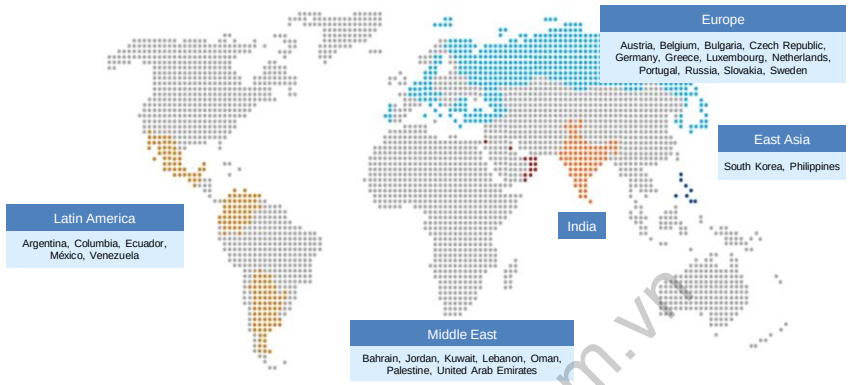
medhub.novartis.com.vn
không được sao chép

Hạn chế

1. Hạn chế về tính chính xác và đầy đủ của số liệu, tính nhất quán về phương pháp đo lường, nhiều yếu tố nhiễu không được đưa vào phân tích (yếu tố hành vi, tuân thủ của bác sỹ, bệnh nhân)
2. Có sai chệch do hiện tượng làm dụng số liệu "data dredging" (tiến hành liên tục các phân tích cho đến khi đạt được kết quả mong muốn) và sai chệch xuất bản (chỉ xuất bản bài báo có kết quả +)
3. Khó bảo mật khi chia sẻ số liệu

Real-world

EDGE: Large real-world observation study: 45,868 patients enrolled across 5 regions of the world

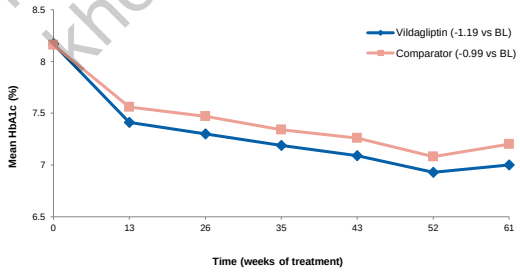


Mathieu C et al. *Int J Clin Pract* 2013;67:947–56

medhub.novartis.com.vn
không được sao chép

Real-world

EDGE study: Real-life evidence demonstrating consistency with achieved glycaemic control versus randomised clinical trials

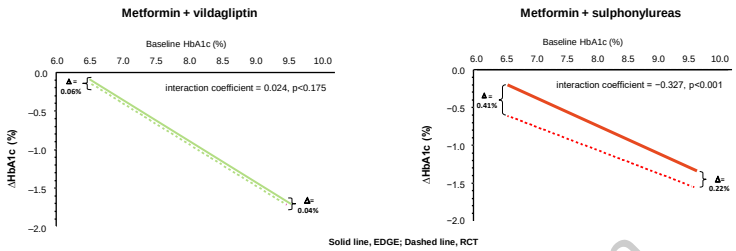


BL, baseline; HbA1c, glycated haemoglobin

Adapted from: Mathieu C et al. *Int J Clin Pract* 2013;67:947–56

Consistent effectiveness of MET + vildagliptin in RCTs and real-life data, in contrast to lower effectiveness with SU-combination in real-life setting versus RCTs

Real-world



Solid line, EDGE; Dashed line, RCT

Data were pooled from 5 clinical trials carried out in 4480 patients [Vilda, N=2788 or SUs, N=1692 (glimepiride, n=1259; gliclazide, n=433)] and compared with a large sample of patients extracted from the EDGE study (Vilda, n=7002 or SUs, n=3702). Linear regression analyses were performed between the baseline HbA1c and the change in HbA1c (ΔHbA1c) after 24 weeks.

HbA1c, glycated haemoglobin; OAD, oral antidiabetes drugs; RCTs, randomised controlled trials

Ahrén B et al. *Diabetologia* 2014;57:1304–7

17

medhub.novartis.com.vn
không được sao chép