

# EVIDENCE-BASED MEDICINE

## EEN RAAMWERK VOOR HET NEMEN VAN BESLISSINGEN IN COMPLEXE SITUATIES

Jaap van der Stel

**Nog maar vijftien jaar is er sprake van *evidence-based medicine* in de strikte zin van het woord. Wat zijn hiervan de achtergronden en wat is de relevantie voor de praktijk? En wat heb je eraan als er geen 'evidence' beschikbaar is?**

### ***Achtergronden***

Sinds de Renaissance en vooral na de zeventiende eeuw is heel geleidelijk de kwantificerende natuurwetenschappelijke methode doorgedrongen tot de geneeskunde. Naast de klinische ervaringen die werden opgedaan in een therapeutische relatie kwamen er statistische gegevens over de samenhang tussen bijvoorbeeld leefomstandigheden en het voorkomen van ziekten en publiceerden wetenschappers de uitkomsten van experimentele onderzoeken.

In het midden van de achttiende eeuw stelde James Lind in Schotland experimenteel vast dat sinaasappels en citroenen scheurbuik konden voorkomen. Zijn onderzoek was waarschijnlijk het eerste RCT (randomized clinical trial). Het RCT is intussen uitgeroepen tot de 'gouden standaard' voor het wetenschappelijk onderzoek naar de effectiviteit van behandelingen in de gezondheidszorg. De uitkomsten van de talloze RCT's die thans worden uitgevoerd volgens nauwkeurig omschreven richtlijnen vormen de basis van de *evidence-based medicine*.

Het is overigens niet zo dat deze ontwikkeling zich in alle disciplines in een zelfde tempo heeft voltrokken. Veel later dan in de somatische gezondheidszorg werd ook in de psychiatrie het streven gericht op *evidence-based medicine*. Het eerste RCT in de psychiatrie werd pas in 1965 uitgevoerd: een onderzoek naar de effectiviteit van de behandeling van depressie met Electroshock Therapie (ECT) versus MAO-remmers. De onderzoekers maakten gebruik van een controlegroep die een placebo kreeg voorgeschreven.

### ***Het belang van de empirie***

Evidence-based medicine kan het beste worden begrepen als een kader waarbinnen beslissingen in de gezondheidszorg op een wetenschappelijk zo verantwoord mogelijke wijze kunnen worden genomen.<sup>1</sup> In beginsel heeft evidence-based medicine betrekking op alle beslissing die in de sector genomen worden. Het strekt zich uit van eenvoudige routinehandelingen tot en met de besluitvorming die aan een risicovolle en ingewikkelde operatie voorafgaat. Ook beleidsbeslissingen en het handelen van managers kan binnen het kader van evidence-based medicine op een meer rationele, empirisch onderbouwde leest geschoeid worden.

Geneeskundigen en de andere beroepsgroepen in de gezondheidszorg hebben zich vanouds geïnteresseerd in het resultaat van hun handelen. De enorme vooruitgang in de geneeskunde zou niet mogelijk zijn geweest, als individuele artsen er niet op gespitst waren bij hun patiënten waarnemingen te doen die – gezien hun opleiding – niet vanzelfsprekend waren. Niet voor niets dragen veel ziekten de naam van de arts die deze als eerste ontdekte. De ziekte van Korsakoff, Alzheimer of Bechterev zijn daarvan voorbeelden.

Er zijn uiteraard ook veel beperkingen aan individuele ervaringen. Al aan het einde van de achttiende eeuw namen – wat wij nu noemen – sociaal-geneeskundigen hun

---

<sup>1</sup> Wie zich snel wil inlezen in de belangrijkste concepten rondom evidence based medicine kan te rade gaan bij:  
[http://www.evidence-based-medicine.co.uk/What\\_is\\_series.html](http://www.evidence-based-medicine.co.uk/What_is_series.html).

toevlucht tot de statistiek om (causale) verbanden op het spoor te komen die individuele waarnemers zelden of nooit konden leggen. Door de toepassing van statistische methoden konden de hygiënisten bijvoorbeeld in de negentiende eeuw het verband aantonen tussen de verspreiding van besmettelijke ziekten én vervuild drinkwater of andere onhygiënische toestanden.

Toch is de rol van de wetenschappelijke evidentie in de gezondheidszorg tot voor kort nogal impliciet gebleven. De uitkomsten van wetenschappelijk onderzoek druppelden vooral via opleidingen of symposia de sector binnen. Een systematisch kader om actief naar 'evidentie' op zoek te gaan, en de resultaten daarvan te gebruiken voor de dagelijkse besluitvorming ontbrak.

Sinds in 1988 Canadese onderzoekers de term 'evidence-based medicine' muntten, nam niet alleen deze term maar ook de daaraan gerelateerde praktijken een enorme vlucht. In korte tijd groeide een praktijk waarin alternatieve interventies met elkaar vergeleken werden in termen van effectiviteit, voordelen en mogelijke schade. Het is thans meer en meer gemeengoed dat instellingen of beroepsgroepen zich er duidelijk over uitspreken dat ze hun handelen willen laten leiden door de uitkomsten van systematisch onderzoek. Ze verklaren zich bereid deze in richtlijnen om te zetten en vervolgens in hun praktijk te 'implementeren'. Verder zijn er prestigieuze en voor alle medici vrij toegankelijke databanken opgezet – zoals de The Cochrane Library – waarin slechts zeer nauwgezet uitgevoerde literatuuroverzichten worden opgenomen.

### **Bewezen effectief**

Voor het dagelijks handelen en het behandelbeleid is het van belang dat klinici en leidinggevendenden hun behandelbeslissingen kunnen verantwoorden met wetenschappelijk onderbouwde uitspraken. Wat verstaan we onder 'bewezen effectieve' behandelingen? Een behandeling is 'bewezen effectief' als:

- de behandeling is **geregistreerd** voor de betreffende indicatie, en/of
- de behandeling wordt aanbevolen in een relevant '**clinical guideline**', het **farmacotherapeutisch kompas** en/of **gezaghebbende handboeken**, en/of
- de behandeling in een recent **systematisch literatuuroverzicht** effectief is bevonden.

Deze criteria, die verwijzen naar bronnen voor evidentie, bieden voldoende handvatten voor practici om zélf hun handelen te kunnen verantwoorden. De lijst is ruim genoeg om uit verschillende bronnen te kunnen putten, maar perkt ook in: alle behandelingen die *niet* gelegitimeerd kunnen worden door gebruik te maken van één van de voornoemde bronnen zijn dus per definitie niet bewezen effectief. Met de toepassing van zo'n behandeling moet dus terughoudendheid worden betracht. Uiteraard betekent dit niet dat nog-niet-bewezen, experimentele behandelvormen daarmee geheel taboe zijn. Wél betekent het dat de uitvoering van zo'n minder gevestigde behandelvorm slechts gelegitimeerd is, als er de verwachting is dat deze *effectiever* is dan een standaardbehandeling, én dat het experiment is omgeven door toezicht en allerlei waarborgen.

Het spreekt voor zich dat de bovengenoemde bronnen niet aan elkaar gelijkwaardig zijn, en dat niet elke richtlijn of de passages in elk handboek zich (zeker niet in details) zich op hetzelfde niveau van bewijsvoering bevinden. Vooral in de eerste generatie(s) praktijkrichtlijnen of handboeken is het diffuus op welke niveau van bewijsvoering een uitspraak zich bevindt: het kan variëren van meta-analyse tot en met de consensus van een groep experts. In de huidige generatie richtlijnen en handboeken wordt echter goed verantwoord op grond waarvan uitspraken worden gedaan. Ze hebben het stadium waarin *consensus* de voornaamste basis van de uitspraken vormde allang ontstegen. In het bijgaande kader gaan we nader in op de niveaus van bewijsvoering.

## NIVEAUS VAN BEWIJSVOERING

### **Niveau I**

Bewijs afgeleid uit een systematisch literatuuroverzicht van alle relevante gerandomiseerde en gecontroleerde onderzoeken.

### **Niveau II**

Bewijs afgeleid uit tenminste één goed opgezette gerandomiseerd en gecontroleerd onderzoek.

### **Niveau III.1**

Bewijs afgeleid uit goed opgezette gecontroleerde, maar niet gerandomiseerde, onderzoeken.

### **Niveau III.2**

Bewijs afgeleid uit goed opgezette cohort of case control onderzoeken bij voorkeur bij meer dan één centrum en / of door meer dan één onderzoeksgroep.

### **Niveau III.3**

Bewijs afgeleid uit diverse tijdreeksen met of zonder de interventie. Er waren serieuze resultaten in ongecontroleerde experimenten.

### **Niveau IV**

De opinie van gerespecteerde autoriteiten, gebaseerd op klinische ervaring, beschrijvende studies, of verslagen van werkgroepen van deskundigen.

Bij voorkeur bevindt de bewijsvoering zich op het hoogste niveau. In de praktijk moet men vaak genoegen nemen met beslissingen waarvoor het bewijs op een lager niveau ligt. Het is belangrijk om in schriftelijke presentaties - achter de wetenschappelijke uitspraken over de 'bewezen effectiviteit' - ter toelichting het niveau van de bewijsvoering te zetten.

### ***Omgaan met onzekerheden***

Op het vlak van de implementatie van bewezen effectieve behandelstrategieën hebben bepaalde medische disciplines beslist een achterstand in te lopen. Die achterstand wordt uiteraard alsmate groter naarmate er nog veel professionals en managers met de hakken in het zand staan, in de hoop dat de wind wel weer eens de andere kant op zal draaien. Waarheen dan is een raadsel, want 'met de wet in de hand' is er niet zoveel keus. We moeten onze patiënten zorg leveren die voldoet aan de hoogste standaards, en wetenschappelijke onderbouwing is daar één van.

Het spreekt voor zich dat professionals zeker het gelijk aan hun zijde hebben, als ze stellen dat het wel heel belangrijk is om evidence based te werken, maar dat er op bepaalde gebieden zo weinig evidence is. In de psychiatrie is er bijvoorbeeld zó'n achterstand in de kennisontwikkeling, dat op de keper beschouwd slechts 10 % van de beslissingen wordt gebaseerd op het hoogste niveau van evidentie. Alleen al om die reden is het verstandig in zo'n situatie slechts richtlijnen op te stellen, en geen dichtgetimmerde protocollen.

In het algemeen kunnen we stellen dat het medisch-therapeutisch handelen van de beroepsbeoefenaren de vaardigheid vergt om met onzekerheden om te gaan. In de gezondheidszorg staan zij dagelijks voor de opgave om beslissingen te nemen op basis van - wetenschappelijk gezien - vaak onvoldoende gegevens over de achtergronden en oorzaken van de te behandelen aandoening of ziekte. Nog meer onzekerheid bestaat er over de *gevolgen* van hun interventies. Beslissingen in de gezondheidszorg hebben over het algemeen ingrijpende gevolgen, en gaan gepaard met veel onzekerheden en

compromissen. Uitstel is vaak niet mogelijk dus moet de arts een beslissing nemen, alleen of in teamverband, en al dan niet na consultatie van een deskundige collega of raadpleging van de literatuur. Ook de beslissing om af te zien van een behandeling is de uitkomst van een proces waarin voors en tegens om voorrang strijden.

### **Medische besliskunde**

Het medisch-therapeutisch handelen kunnen we zien als een aaneenschakeling van ingrijpende en minder ingrijpende beslissingen. Hoe worden die vooraf verantwoord en hoe worden de uitkomsten er geëvalueerd? Oppervlakkig gezien vinden de besluitvormingsprocessen vaak nogal chaotisch plaats en intuïtieve (of positief uitgedrukt: op jarenlange ervaringen gebaseerde) overwegingen een zeer belangrijke plaats in te nemen. In de praktijk kan men ook niet zoveel met de gestileerde uitkomsten van de experimentele onderzoeken omdat die nauwelijks aansluiten op de klinische praktijk. Juist in de omstandigheid dat er slechts een klein deel van de beslissingen op 'evidence' kan worden gebaseerd is het van het grootste belang het proces van besluitvorming te rationaliseren en transparant te maken. Daarvoor dient de medische besliskunde zich aan.

Recent publiceerden Hunink en Glasziou (2001) een boek over medische besliskunde.<sup>2</sup> De auteurs stellen daarin een systematiek voor voor de wijze waarop beslissingen idealiter voorbereid en genomen kunnen worden. Maar ze geven ook aan op welke wijze beslissingen die – wetenschappelijk gezien – op drijfzand gebaseerd zijn, toch zo rationeel mogelijk genomen kunnen worden. Dat geldt niet alleen voor beslissingen waar de evidence ons in de steek laat. Ook beslissingen waar een *waardegebonden* component aan kleeft, zoals de beslissing om af te zien van een zeer riskante operatie bij een hoogbejaarde patiënt, kunnen winnen aan transparantie en rationalisatie.

Hun uitgangspunt is dat je bij ingewikkelde vraagstukken een algemeen model moet hebben voor de wijze waarop idealiter beslissingen worden voorbereid en genomen. Voor de gezondheidszorg en geneeskunde zijn hiervoor diverse werkwijzen ontwikkeld, waarvan de beslisboom en de clinical balance sheet wel de meest bekende zijn.

### **Proactief**

Kort samengevat komt het proces neer op de volgende stappen: expliciteer het probleem en de daaraan gerelateerde doelen; stel een lijst op van alternatieve handelingen (of scenario's) en maak een inschatting en beoordeling van de gevolgen daarvan; weeg alle voor- en nadelen van elk alternatief tegen elkaar af. Volgens Hunink en Glasziou is deze werkwijze de kern van wat een 'proactive' wijze van besluiten genoemd kan worden. Het acroniem PROACTIVE staat voor: problem – reframe – objectives – alternatives – consequences and chances – trade-offs – integrate – value – explore and evaluate. Om de uiteindelijke behandelbeslissing te onderbouwen is het allereerst van belang om het probleem zo goed mogelijk te begrijpen en na te gaan welke variabelen of kenmerken van het probleem de uiteindelijke beslissing bepalen.

Ogenschijnlijk is er sprake van een lineair proces, maar in de praktijk kan een andere volgorde bewandeld worden of kunnen bepaalde (tussen)stappen worden overgeslagen. In het boek van Hunink en Glasziou wordt elke stap omstandig toegelicht. Kenmerkend voor een proactieve benadering van besluitvormen is dat het proces transparant wordt gemaakt: er moet bewustwording plaatsvinden van het probleem, het doel, de alternatieven, de consequenties en de daaraan gerelateerde compromissen.

Omdat er in teamsamenwerking bijna altijd sprake van verschillende gezichtspunten is het belangrijk om te beginnen met het onderzoeken (*reframen*) van problemen vanuit al die perspectieven. De reflectie daarop kan echter vanwege de complexiteit daarvan 'overweldigend' zijn. Daarom zijn de instrumenten die de auteurs voorstellen er sterk op

---

<sup>2</sup> Hunink, M.G. & Glasziou, P.P. (red) (2001). *Decision making in health and medicine; integrating evidence and values*. Cambridge: Cambridge University Press.

gericht de problemen, de alternatieven én de verwachte uitkomsten daarvan te visualiseren en te structureren in de vorm van een model.

Hun methode is er echter niet op gericht de onzekerheid die aan de praktijk inherent is te benadrukken. Voor wetenschappelijk onderzoek zou zo iets geen probleem zijn: twijfel is de moeder van de wetenschappelijke vooruitgang. Voor het medisch handelen is het volgens Hunink en Glasziou zeer belangrijk om goed je doel te omschrijven en je daarop te concentreren. Balance sheets kunnen behulpzaam zijn om de verzamelde informatie (in het bijzonder de gevolgen van verschillende behandelopties) zó te organiseren, dat op een verantwoorde wijze een compromis kan worden voorbereid tussen minimale schade en maximale winst.

Wat erg aanspreekt in de aanpak van deze auteurs is dat zij zich niet vastbijten in de rationalisering van het besluitvormingsproces: beslissingen op grond van minder wetenschappelijke criteria zouden dan als 'irrationeel' aan de kant geschoven moeten worden. Zeker in deelgebieden waar nog relatief weinig harde wetenschappelijke gegevens beschikbaar zijn, zou dat gemakkelijk kunnen leiden tot een afkeer van rationalisatie. Nee, deze auteurs pleiten ervoor om de rationele benadering van het beslisprobleem te integreren met de psychologische, subjectieve aspecten, met waarden en voorkeuren. Te allen tijde zal de beslisser uiteindelijk zijn of haar 'intuïtie moeten laten spreken'.

### ***Evidence-based management***

Overigens, niet alleen op de werkvloer, maar ook op het niveau van het management bestaat er de noodzaak het beslisproces zoveel mogelijk te rationaliseren en te verantwoorden. Beslissingen van het management kunnen – zij het vaak indirect – vergelijkbare ingrijpende gevolgen hebben als die van de medici en andere beroepsbeoefenaren in de directe zorgverlening. Waar 'echte' ondernemers zich met een gerust hart grote risico's kunnen veroorloven, staat het management in de gezondheidszorg voor de opgave om *vooraf* zo veel mogelijk zekerheid te hebben over de consequenties van zijn plannen. Waar deze zekerheid ontbreekt, moet men zich tenminste publiek kunnen verantwoorden over waarom een risico genomen is. Onvoldoende behandelcapaciteit kan ernstige schade veroorzaken en zelfs mensenlevens kosten. De middelen in de gezondheidszorg zijn schaars. De behoefte aan zorg is groter dan waarin kan worden voorzien. Maar toch is het van belang om op zoek te gaan naar alternatieve zorgarrangementen die beter kunnen voldoen aan de vraag van de patiënten.