



# **Bewertung von Nutzen und Kosten von Arzneimitteln in der internationalen Praxis**

---

**Wie kommen wir zu fairen Arzneimittelpreisen?  
Fachgespräch Bündnis 90/Die Grünen**

Berlin, 14.06.2010

Prof. Dr. Dea Niebuhr

Hochschule Fulda

FB Pflege und Gesundheit














## Drei mögliche Zeitpunkte

---

zur Bewertung eines Arzneimittels:

1. nach der Marktzulassung und im Markt diffundiert
2. unmittelbar nach der Marktzulassung und im Markt noch nicht diffundiert
3. vor der Marktzulassung ca. 2 bis 3 Jahre (horizon scanning = entwicklungsbegleitende Bewertung derzeit in 13 Ländern)

Arzneimittelschnellbewertungen setzen unmittelbar „at launch“ an  
=> 180 Tage für Bewertung (EU-Transparenz-RL 89/106/EWG)

NZ 1993 	Pharmaceutical Management Agency (PHARMAC)/ Pharmacology and Therapeutic Advisory Committee (PTAC)	Erstattungsfähigkeit bzw. Aufnahme auf Positivliste und Preisverhandlung	Inkrementelle Kosten- Effektivität (ICER) QALY-Konzept
AU 1987/93 	Pharmaceutical Benefits Advisory Committee (PBAC)/ Economic Sub-Committee(ESC)	Erstattungsfähigkeit bzw. Aufnahme auf Positivliste und Preisregulierung (staatl. Preisfest- setzung)	Inkrementelle Kosten- Effektivität (ICER) QALY-Konzept
CA 94/03 	Patented Medicine Prices Review Board (PMPRB)/ PMPRB's Human and Veterinary Drug Advisory Panels Canadian Expert Drug Advisory Committee (CEDAC)/ Common Drug Review (CDR) beim Canadian Coordinating Office for Health Technology Assessment (CCOHTA)	Erstattungsfähigkeit bzw. Aufnahme auf Positivliste und Preisregulierung (staatl. Preisfestsetzung)	Inkrementelle Kosten- Effektivität (ICER) QALY-Konzept (nicht alle Bundesstaaten)
CH 1994 	Bundesamt für Gesundheit (BAG)/ Eidgenössische Arzneimittelkommission (EAK)	Preisregulierung und Aufnahme Spezialitätenliste	Inkrementelle Kosten- Effektivität (ICER)
FI 1999 	Pharmaceuticals Pricing Board (PPB, Lääkkeiden hintalautakunta)	Erstattungsfähigkeit bzw. Aufnahme auf Positivliste und staatl. Preisfestsetzung	Inkrementelle Kosten- Effektivität (ICER)
SE 87/02 	Pharmaceutical Benefits Board (PBB) (Läkemedelsförmånsämnden)	Erstattungsfähigkeit bzw. Aufnahme auf Positivliste und Preisregulierung (Festbeträge und Preisfestsetzung)	Inkrementelle Kosten- Effektivität (ICER) QALY-Konzept
NL 1999 	Kollegium für Krankenversicherungen (College voor zorgverzekeringen,CVZ)/ Kommission für Pharmazeutische Hilfe (Commissie Farmaceutische Hulp, CFH)	Preisregulierung (Festbeträge) und Erstattungsfähigkeit bzw. Aufnahme auf Positivliste	Inkrementelle Kosten- Effektivität (ICER) QALY-Konzept
NO 2002 	Norwegian Medicines Agency (NoMA, Statens Legemiddelverk)/ Department of Pharmacoeconomics	Erstattungsfähigkeit bzw. Aufnahme auf Positivliste	Inkrementelle Kosten- Effektivität (ICER) QALY-Konzept
AT 2003/05 	Hauptverband der Österreichischen Sozialversicherungsträger (HVB)/Heilmittel-Evaluierungskommission (HEK)	Erstattungsfähigkeit bzw. Aufnahme auf Positivliste und Preisregulierung (Festsetzung und Verhandlung)	Inkrementelle Kosten- Effektivität (ICER)
FR 89/05 	Comité économique des produits de santé (CEPS)/ Commission de la Transparence (CT)/HAS	Preisregulierung (Preisverhandlung) und Aufnahme Positivliste	Inkrementelle Kosten- Effektivität (ICER)
Engl/Wales 1999 	National Institute for Health and Clinical Excellence (NICE)/ externe HTA-Institute	Empfehlungen für die Therapiean- wendung, nur Negativliste (Gewinnkontrolle: PPRS)	Inkrementelle Kosten- Effektivität (ICER) QALY-Konzept
	Scotland 2002: Scottish Medicines Consortium (SMC)	Positivliste	



# **Kosten-Nutzen-Bewertungen international**

---

- Institutionen überwiegend beratend tätig und dem Gesundheitsministerium unterstellt, direkt regulierend sind FI, SE, NZ und PMBRB in Kanada unter Aufsicht des Ministeriums
- Freie Preissetzung nur in Deutschland, Ungarn (Positivliste), Estland (Positivliste) und Malta
- Alle bewerten vergleichend klinische Wirksamkeit, Nutzen aus patientenrelevanter Sicht, Nutzen-Schaden-Verhältnis bzw. Sicherheit und Kosteneffektivität etc.
- Obligatorische und/oder fakultative Ausgestaltung der Bewertungskriterien ist heterogen

# Ausgewählte Kriterien im Verfahrensablauf



Kriterium	AT	AU	CA	CH	FI	FR	NL	NO	NZ	SE	UK
Hersteller reicht Unterlagen nach einem Dossier/Guideline ein	X	X	X	X	X	X	X	X	X	X	X
Hersteller muss obligatorisch Effektivität und Kosteneffektivität bewerten		X	X				X	X			X
Bewertung Effektivität und Kosteneffektivität auch von Institution durchgeführt (inkl. Modellierung)		X	X						X	X	X
Auswirkung auf Budget Bestandteil der Bewertung (budget impact)	X	X	X	X	X	X	X	X	X	X	X
pharmakologische Eigenschaften wie Applikationsform, Darreichungsform, neues Wirkprinzip, Aussehen, Geschmack	X		X			X	X				X
Für die Empfehlung gelten mehrere Kriterien (kein Ja/Nein)	X	X	X	X		X	X		X		X
Verfahren ist transparent		X	X						X	X	X
Horizon Scanning	(X)	X	X	X			X	X	X	X	X



# National Institute for Health and Clinical Excellence (NICE)

---

## 1. April 1999

- Special Health Authority (SHA) für England/Wales unter Kontrolle des DoH
- Board wird vom Gesundheitsminister ernannt
- Budget: £33 Mio./Jahr in 2008/2009 [IQWiG in 2008/2009: €15 Mio./Jahr (2007: €11 Mio./Jahr)]
- ~250 Beschäftigte in London und Manchester [IQWiG (2008): 92, davon 62 Wissenschaftler]
- ~3.000 Experten (ehrenamtlich) involviert => Netzwerk: „physicians, nurses, health economists, clinical epidemiologists, statisticians, lay people - across the UK engaged in NICE guidance development during the year“



## Zentrale Aufgaben:

Clinical effectiveness  
Cost effectiveness  
Transparency

**Developing NICE guidance**

**Centre for  
Public Health Excellence**

- public health interventions
- public health programmes

**Centre for  
Health Technology  
Evaluation**

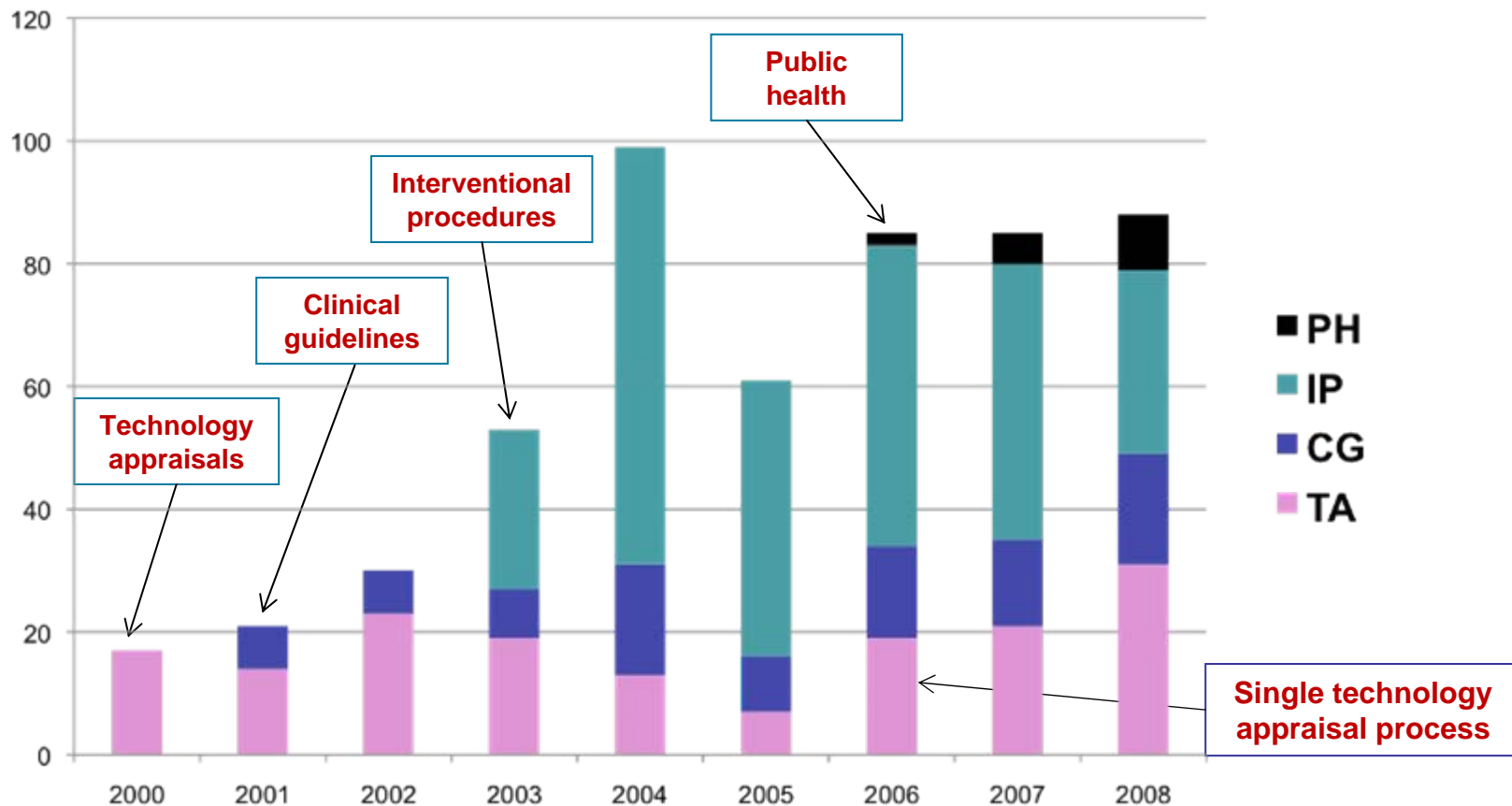
- technology appraisals
- interventional procedures
- diagnostics
- devices

**Centre for  
Clinical Practice**

- clinical guidelines



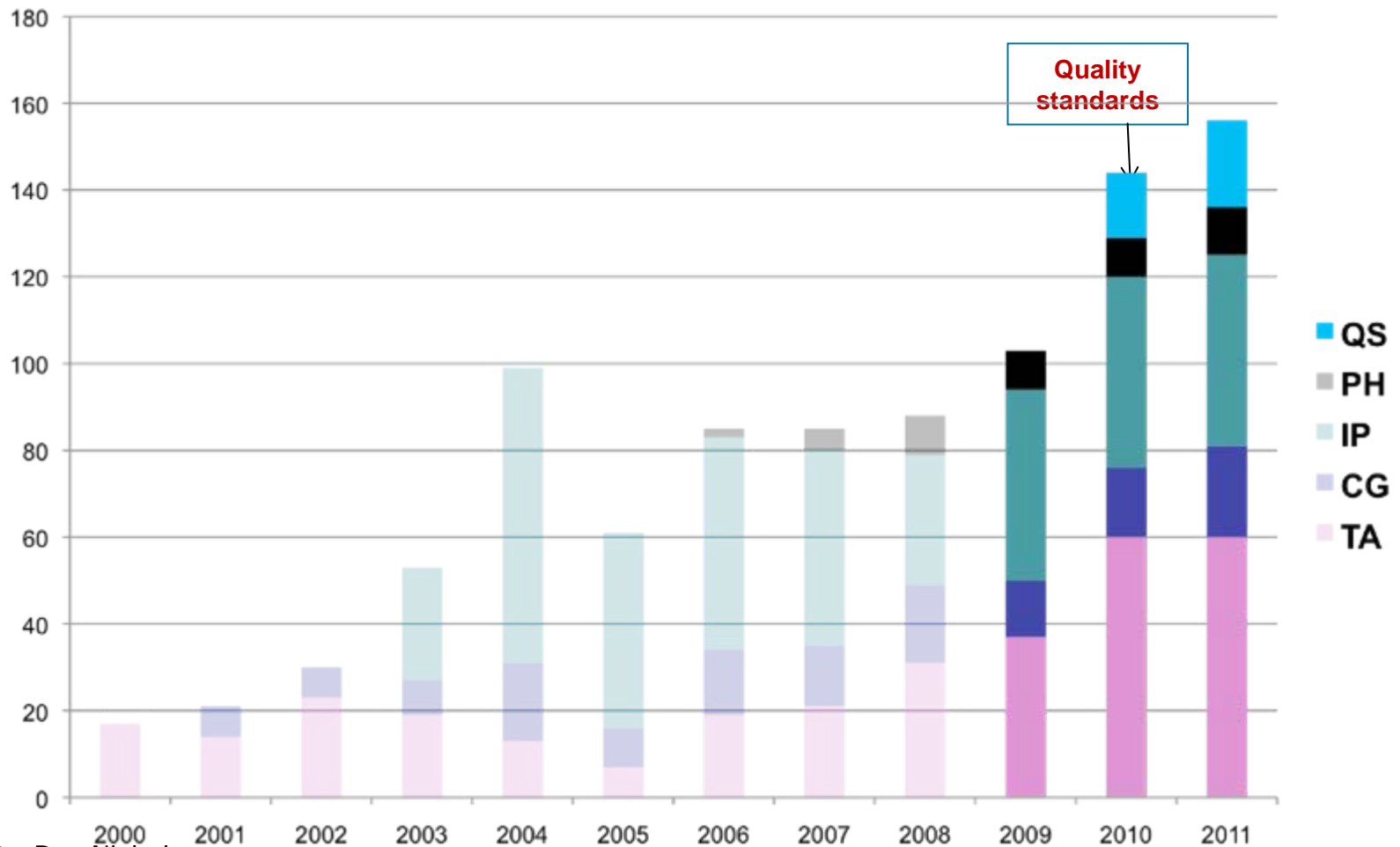
# NICE Guidance 2000-2008







# NICE Guidance 2009-2011





# Technology Appraisal Empfehlungen

Decision	Number	Percent
Unrestricted	98	29%
Optimised	188	55%
Only in Research	21	6%
Not recommended	31	9%
Non-submission	4	1%
Total	342	100%

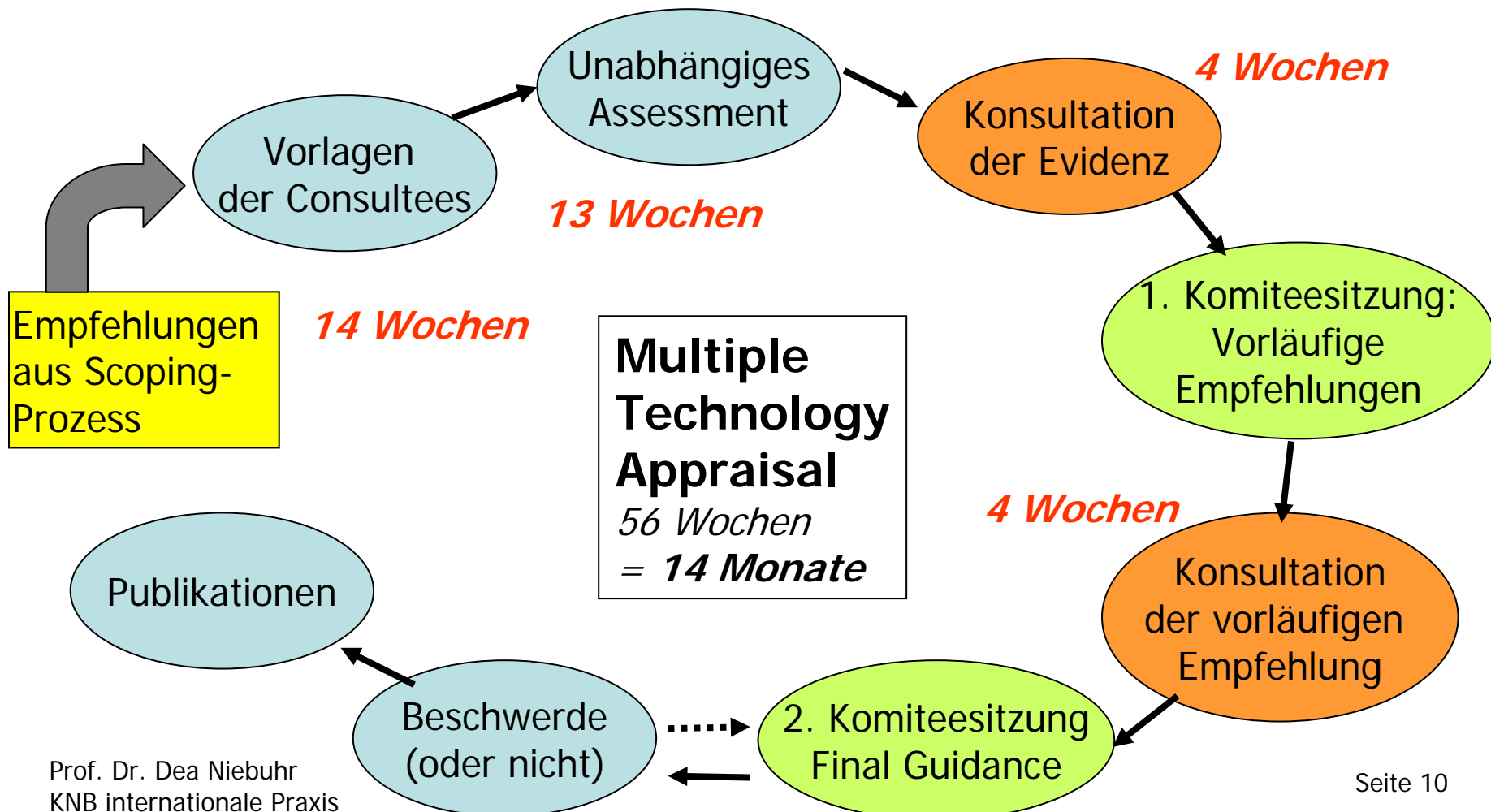
84% der  
Empfehlungen  
positiv...

342 Empfehlungen bei 161 Technology Appraisals [Stand: Oktober 2008, derzeit TA 189]

E. George, Centre for Health Technology Evaluation

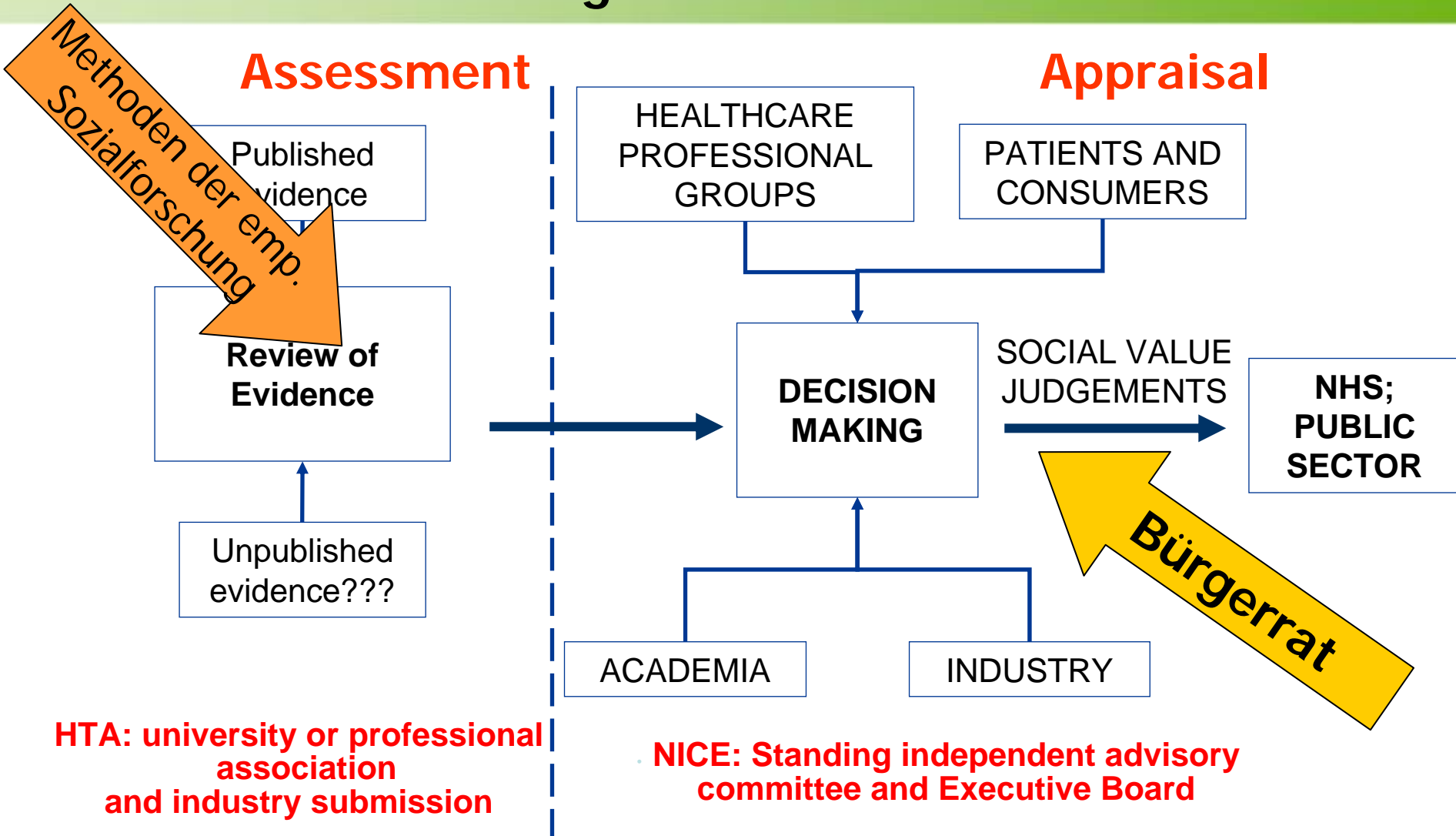


# NICE: Multiple Technology Appraisal (MTA)





# NICE: Decision Making Process



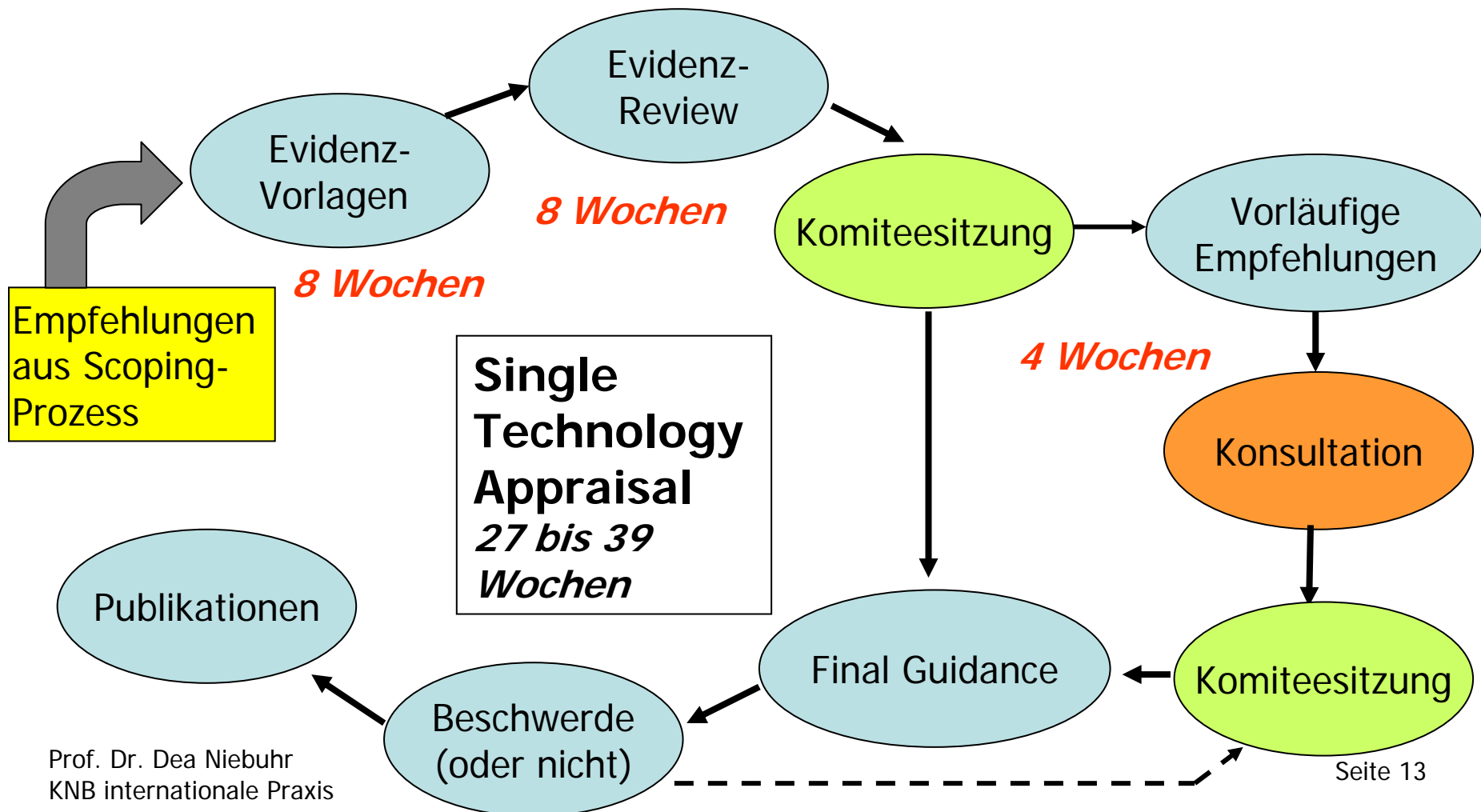


# NICE: Single Technology Appraisal (STA)

- in 2006 als Schnellbewertungsverfahren für indikationsspezifische Einzelleistungen eingeführt
- Vorschläge: Resultat des „National Horizon Scanning Center (NHSC)“, auch von Individuen, Patient/innengruppen, Ärzteschaft, Gesundheitsdienstleistern oder Industrie möglich, aber
- nur NICE ist Initiator  $\Leftrightarrow$  Scoping Workshop
- Offenes Rekrutierungsverfahren der 28 Mitglieder in ständiger Kommission für drei Jahre ernannt aus:
  - NHS (3), Ärzte/Nurses/Apotheker (16), Patientenvertreter (2), Wissenschaft (5) und Industrie (2) etc.
- Consultees/Kommentatoren:
  - Patienten-/Angehörigenselbsthilfe, Fachverbände u. Berufsorganisationen der Gesundheitsberufe, Hersteller, Department of Health, Welsh Assembly Government, Primary Care Trusts, lokale Gesundheitsbehörden etc.



# NICE: Single Technology Appraisal (STA)





# NICE: Single Technology Appraisal (STA)

---

- Unterlagen und Analysen vom Hersteller eingereicht
- Assessmentteam bereitet diese Informationen in einem „Critical Review“ auf, dafür sind wesentlich
  - die Ergebnisse aus der Überprüfung der Herstellerunterlagen von der Evidence Review Group (ERG); muss zwingend unabhängig sein
  - ERG kann zusätzliche (in der Regel ökonomische Analysen) durchführen
  - ERG wird ermächtigt vom National Institute for Health Research – Health Technology Assessment Programme (NIHR HTA Programme)
  - NICE Website wesentliches Medium für jeden Schritt im STA (Timetable und Fortschritte im Verfahren)

=> Externalisierung der Evidenznachweise



# **NICE: Single Technology Appraisal (STA)**

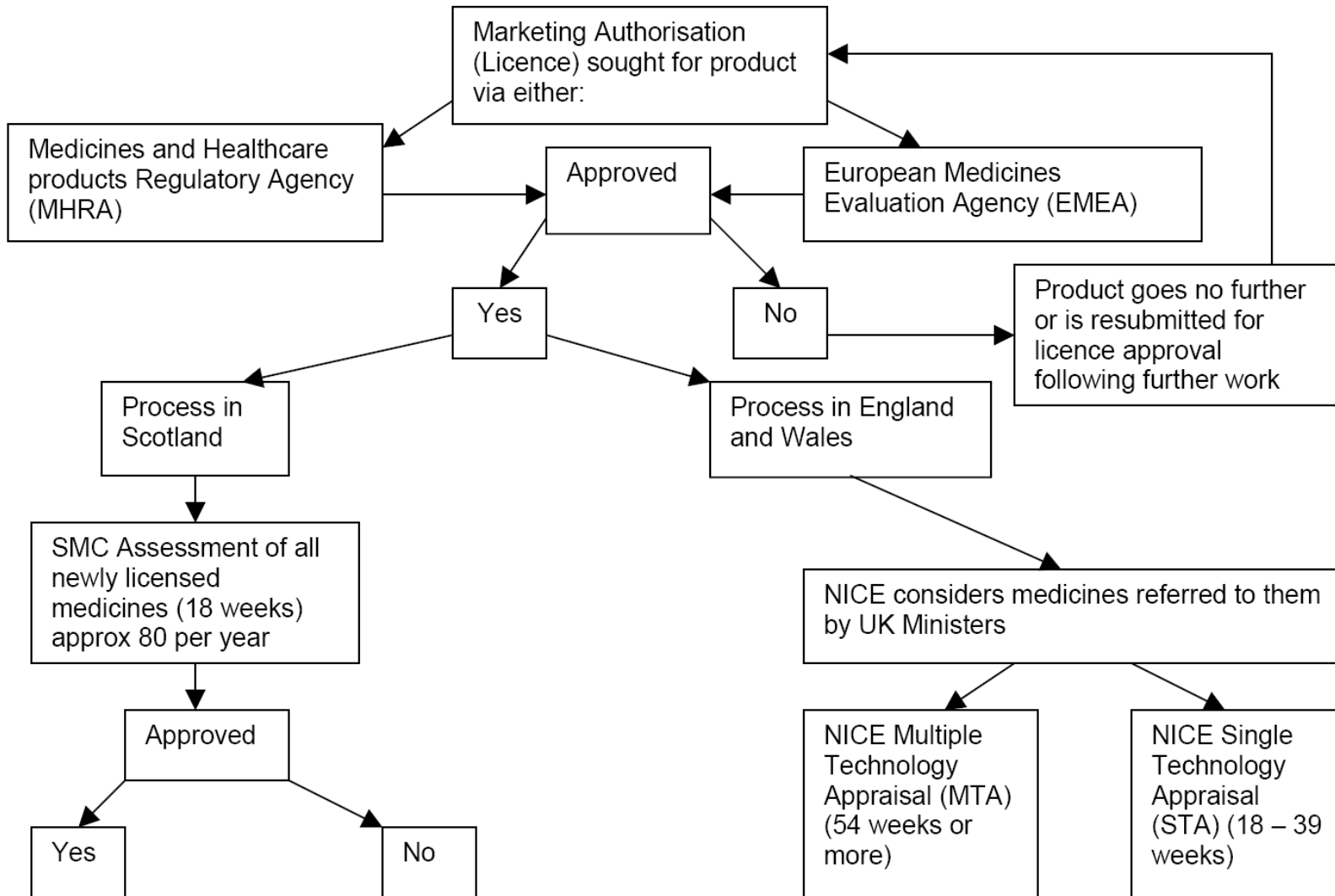
---

Zeit gewonnen:

- kein unabhängiges Assessment mehr
- konzentriertes Appraisal durch Evidence Review Group(s)
- Einbezug der Evidenz anderer Consultees wie Unterlagen von Patientenvertretern, Fachgesellschaften etc. an ERG,
- Stellungnahme- und Revisionsverfahren (mit einer Frist von 15 Werktagen) weiterhin vorhanden
- keine zweite Konsultation der Empfehlungen, wenn diese mit der Zulassung übereinstimmen



# Drei Wege nach der Zulassung in UK





## Scottish Medicines Consortium (SMC)

---

- 2001 als Konsortium der Area Drug and Therapeutics Committees (ADTCs) der 15 NHS Boards (Scotland) gegründet;
- 18 Wochen nach der Zulassung Entscheidung
- Hersteller reichen Unterlagen ein (Antrag und proaktive Aufforderung durch SMC) vor (bevorzugt) bzw. zum Zulassungsdatum
  - alle Daten zur klinischen Wirksamkeit, Nutzen und Kosteneffektivität (auch unveröffentlichte)
  - „Economic Case“
- Bewertet werden:
  - Neue lizenzierte Präparate
  - Präparate mit neuer Galenik
  - Indikationserweiterungen

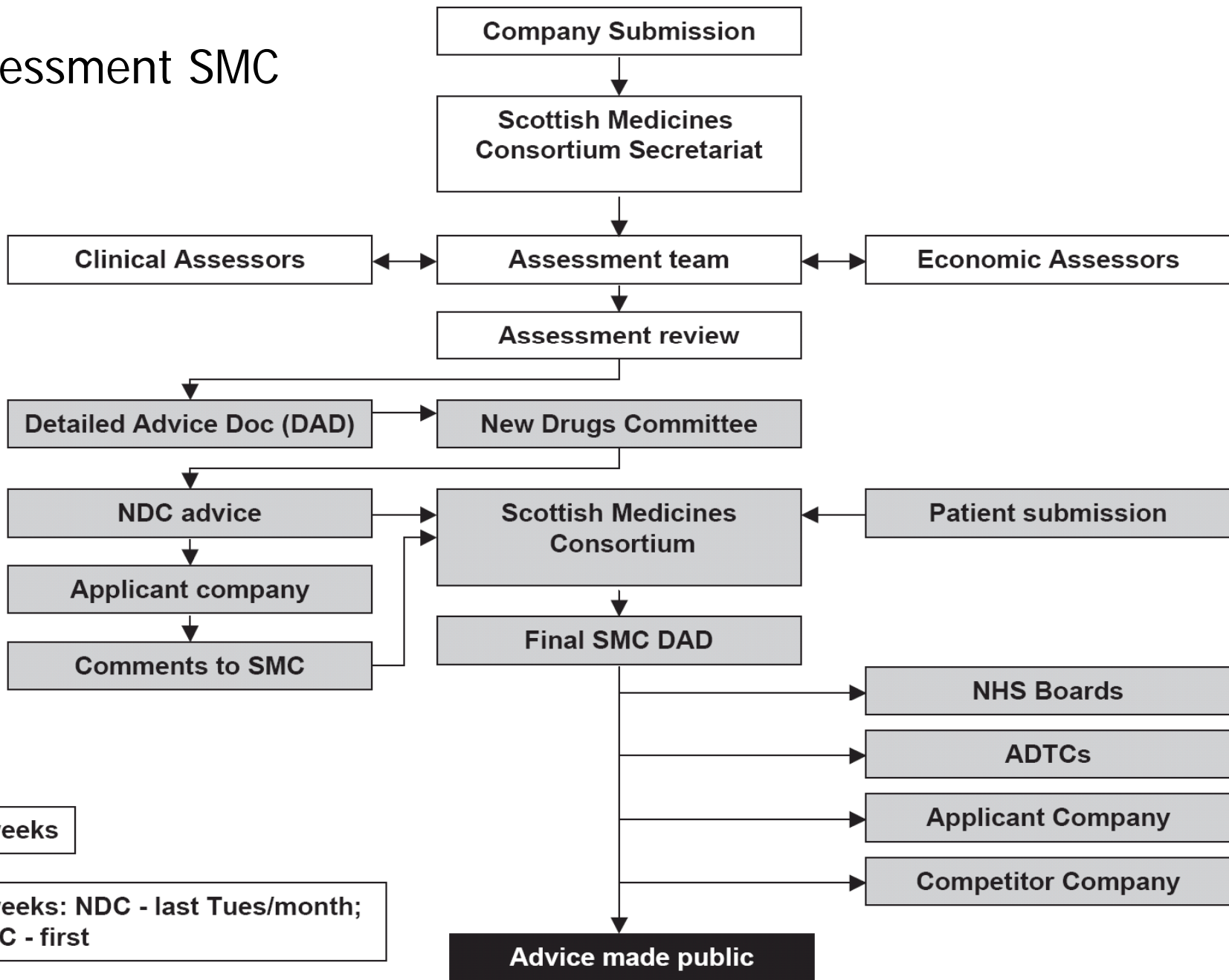


## Scottish Medicines Consortium (SMC)

---

- Überprüfung der Unterlagen getrennt durch ein „Klinisches Team“ und „Gesundheitsökonomisches Team“
- New Drugs Committee (NDC) mit 18 Mitgliedern bewertet zusammenfassend (Assessment-Team) und formuliert Empfehlung
- SMC entscheidet
  - 35 Mitglieder: Ärzte, Allgemeinmediziner, Pflegekräfte, Ökonomen, Funktionsträger aus NHS Boards und Trusts, Laien- und Patientenvertreter, Vertreter Arzneimittelverband (ABPI)
- Patient and Public Interest Group (PAPIG): 7 Mitglieder im SMC

# Assessment SMC



8 weeks

6 weeks: NDC - last Tues/month;  
SMC - first

4 weeks



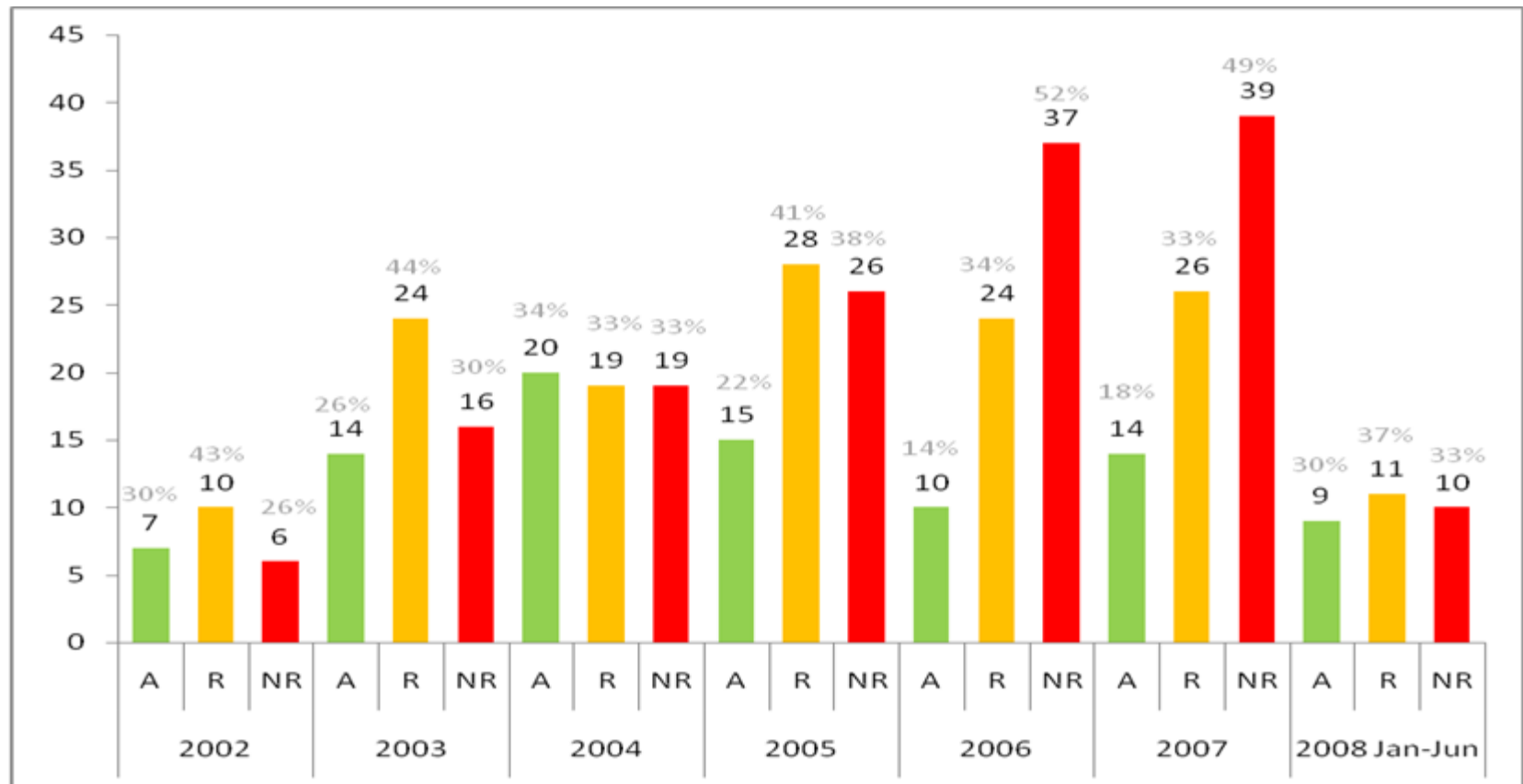
## Scottish Medicines Consortium (SMC)

---

- Drei Empfehlungskategorien für 577 bewertete Arzneimittel (Stand Mai 2009)
  - 187 akzeptiert (32%)
  - 202 beschränkt akzeptiert (35%)
  - 188 nicht empfohlen
- Kosten/QALY (ausschließlich präsentiert von den Herstellern) nicht immer akzeptiert
  - „The manufacturer did not present a sufficiently robust economic analysis to gain acceptance by SMC.“
- Adaption der „NICE-Grenze“ von £20.000 - 30.000 führte bei 64% der betr. Produkte zum Ausschluss
- Beschwerdeverfahren möglich



# Anzahl/Jahr der SMC Entscheidungen



<http://www.scottishmedicines.org>

A=akzeptiert  
R=restriktive Empfehlung  
NR=nicht empfohlen



## Scottish Medicines Consortium (SMC)

---

- Häufig liegt ein Jahr zwischen Entscheidungen SMC und NICE => NICE-Bewertungen differenzierter, insgesamt aber hohe Übereinstimmung
- Jede positive Entscheidung (Optionen 1. und 2.) wird zur Aufnahme auf die Positivliste (inkl. Therapieempfehlungen) durch ADTC überprüft
- Engmaschig verbunden mit NHS-Horizon Scanning Center
- Starke Akzeptanz in der Öffentlichkeit (insb. Selbsthilfe) wesentlich => hohe Transparenz
- Ständiger Dialog mit Unternehmen im SMC User Group Forum



# Fazit Schnellbewertungen international

---

- Beschleunigte Verfahren zur Arzneimittelbewertung mit Beteiligung aller Stakeholder sind möglich
- Früherkennung fraglicher Leistungen (early warning systems = horizon scanning) birgt ungenutzte Synergiepotenziale
- Einführung von Schnellbewertungen erfordert zwingend eine standardisierte und regelmäßige Reevaluation
- Belastbares Datenmaterial zur „Wirksamkeit unter Alltagsbedingungen (effectiveness)“ naturgemäß erst einige Jahre nach Zulassung erwartbar
- Verbindung zwischen Bewertungsergebnis und Versorgungsstruktur/-prozess sollte parallel (mit Studien der Versorgungsforschung) geplant und als Monitoring implementiert werden
- Verbindliches Dossier für Unterlagen der Hersteller erforderlich
- Fehlende HTA-Infrastruktur ist ein großes Hindernis für die deutsche Situation