



**Gemeinsamer  
Bundesausschuss**

# **Möglichkeiten zur Verbesserung der Datenlage für eine valide Kosten-Nutzen-Bewertung**

**Symposium zur Kosten-Nutzen-  
Bewertung**

**Berlin, 17.06.2008**



# Gliederung

- Thesen
- Was brauchen wir für eine valide Kosten-Nutzen-Bewertung?
  - Nutzenbewertung
  - Kostenerfassung
  - Modellierung als Ausweg?
- Ist §35b ein brauchbarer Einstieg?
- Fazit

# Thesen

- eine „Experimentierklausel“ in der GKV ist sinnvoll, um aussagekräftige Daten zu erhalten
- valide und eindeutige Aussagen zum Nutzen erleichtern die Kosten-Nutzen-Bewertung
  - Daten aus der Marktzulassung alleine sind nicht ausreichend, ein patientenbezogener, valide belegter Zusatznutzen wird regelhaft gefordert
- die Datengrundlage in Deutschland ist hinsichtlich Kostenerfassung insuffizient

# Thesen (KNB)

- Die KNB ist im Kontext zahlreicher weiterer Arzneimittel-Regelungen zu sehen
- Ein internationaler Standard ist nur schwer auszumachen
- Die Gesetzeslage fordert eine zweistufige Bewertung (Nutzen, dann ev. KNB)
- Plazebovergleiche aus Zulassungsstudien sind für die Nutzenbewertung unzureichend
- Modellierungen sind mittelfristig wohl notwendig, ein fehlender Nutzenbeleg kann aber nicht durch Modellierung errechnet werden

# Datenanforderungen für eine valide Nutzenbewertung

- wenn möglich: Evidenz aus RCTs
- Unterscheidung Wirksamkeit <-> Nutzen
- Beleg für Nutzen anhand patientenrelevanter Endpunkte
- Begriff des Zusatznutzens
- jeweils zu klären:
  - Stellenwert von Surrogatendpunkten
  - Stellenwert von Lebensqualität

- „Nutzen“ ist eine mehr als geringfügige patientenrelevante positive Wirkung (= Kausalitätsanspruch) einer medizinischen Maßnahme unter Abwägung des Risikos
  - Als patientenrelevant wird ein Effekt bezeichnet, wenn er sich auf den Krankheitsverlauf inklusive Mortalität, Symptomatik sowie die Lebensqualität bezieht und für Patienten wichtig ist
  - „Zusatznutzen“ ist das Ergebnis eines positiven Nutzenvergleichs mit dem bisherigen (etablierten) Standard

# Zulassung nach AMG vs. Anforderungen des SGB V

- **Zulassungskriterien nach AMG § 25:**
  - Nachweise für pharmazeutische Qualität, therapeutische Wirksamkeit, Unbedenklichkeit
  - Zulassungsstudien prüfen auf Äquivalenz / Nicht-Unterlegenheit häufig anhand von Surrogat-Parametern, häufig gegen Placebo
- **Vergleich zu Anforderungen nach § 12 SGB V:**
  - keine regelhafte Prüfung auf patientenrelevante Endpunkte
  - keine Prüfung gegen den aktuellen Behandlungsstandard
  - keine direkten Vergleichsstudien mit anderen Arzneimitteln („Head-to-Head“)
  - keine Prüfung des Zusatznutzens (und damit Rechtfertigung von Mehrkosten)

# Verbesserung der Datenlage

## - Nutzen -

- Forschungsinfrastruktur für RCTs vorhanden:
  - Förderprogramme BMBF
    - klinische Studien / systematische Reviews, gemeinsam mit DFG (*bottom-up*)
    - Versorgungsforschung
    - Koordinierungszentren klinische Studien, Netzwerk, internationale Kooperationen
      - zusätzlich klinische Studienzentren (6 seit 2007)
    - EU-Programme
- nationale, internationale (multizentrische) Kooperationen ausbaufähig
  - variiert stark nach klinischem Fachgebiet
- GKV-Finanzierung ermöglichen („Experimentierklausel“)
  - bisher nur im Rahmen von Modellversuchen (Akupunktur, Balneophototherapie, ggf. Vakuumversiegelungstherapie)



# Verbesserung der Datenlage

## - Nutzen -

- Sonstige Studiendesigns:
  - nur in Ausnahmefällen akzeptabel
  - Anwendungsbeobachtungen unbrauchbar, da Marketinginstrument
    - „Alltagswirksamkeit“ als Argument, fehlende aussagekräftige RCT-Ergebnisse durch minderwertige Studien zu ersetzen
  - auch im Alltag ist der Nutzen kausal und fair nachzuweisen
  - es stimmt nicht, dass mit niedrigerer Evidenzstufe die Übertragbarkeit von Studienergebnissen besser wird

# Verbesserung der Datenlage

## - Kosten -

- Defizite
  - Zugang zu validen Kostendaten stationär und ambulant
  - sektorübergreifende, längsschnittliche Kostendaten von Patienten
  - valide Diagnosedaten ambulant
  - Erkenntnisse zur Zahlungsbereitschaft (Präferenzen, Nutzwerte)
  - Entwicklungskosten neue Arzneimittel

Perspektive					Kostenart	
Gesamtgesellschaftliche Perspektive	Gesundheitswesen	Soz. Vers.	GKV	Krankenhaus	Direkte medizinische Kosten	
				Ambulanter Sektor	Direkte medizinische Kosten	
						Direkte medizinische Kosten (andere Sozialversicherungsträger)
						Direkte medizinische Kosten (für Patient und Familie)
	Direkte nicht-medizinische Kosten (für Patient und Familie)					
	Produktionsverlust (indirekte Kosten)					
					Zukünftige Gesundheitskosten	

<b>Kostenart</b>	<b>Beispiel</b>
Direkte medizinische Kosten - Stationär -	Personaleinsatz von Ärzten, Pflegepersonal, anderen Gesundheitsprofessionellen; Arzneimittel; diagnostische und therapeutische Verfahren; „Hotelkosten“; Gemeinkosten; Investitionen
Direkte medizinische Kosten - Ambulant -	Arzt-Patienten-Kontakte von Allgemeinmedizinern und niedergelassenen Fachärzten; verschriebene Arzneimittel; „Heilmittel“ (Physiotherapie, Ergotherapie, Logopädie etc.), Hilfsmittel
Direkte medizinische Kosten (andere Sozialvers.-träger)	Rehabilitation; professionelle Pflege (Pflegeheim oder als häusliche Krankenpflege)
Direkte medizinische Kosten (für Patient und Familie)	Selbstbeteiligung (sofern aus direkten Kosten der Sozialversicherung herausgerechnet); OTC-Medikamente; selbst gezahlte Untersuchungen (z.B. IGeL)
Direkte nicht-medizinische Kosten (für Patient und Familie)	Fahrtkosten; notwendige krankheitsbedingte Umbauten in der Wohnung; ggf. Zeit des Patienten bzw. der Angehörigen (für Pflege, Besuche etc.)
Produktionsverlust (indirekte Kosten)	Arbeitsunfähigkeit, Erwerbsunfähigkeit oder krankheitsbedingten vorzeitigen Tod; reduzierte Arbeitskapazität
Zukünftige Gesundheitskosten	Weitere Arzneimittel, stationäre Aufenthalte, ambulante Therapie etc. nach Vermeidung tödlichen Ausgangs von chronischen Krankheiten

# Verbesserung der Datenlage

## - Kosten -

- Epidemiologische Daten / Daten aus der Versorgungsepidemiologie
  - Inzidenz / Prävalenz (alters-, geschlechts-, stadienspezifisch usw.)
  - Dissemination und Nutzung medizinischer Technologien
- Erhebung des Ressourcenverbrauchs
  - parallel zu RCTs (piggy-back) und anderen klinischen Studien
  - spezifisch für den nationalen Kontext
- Sekundärdaten
  - Datentransparenzregelung (§303a-f SGB V) umsetzen
  - Daten einzelner Krankenkassen / anderer Sozialversicherungsträger nutzen
  - Krankenhauskosten zugänglich machen
    - DRG-Kalkulationskrankenhäuser
- Nutzwerte (QALYs)
  - für Deutschland spezifische Nutzwerte fehlen weitgehend
  - internationale Datenbank:  
<https://research.tufts-nemc.org/cear/default.aspx>

# Ermittlung von Präferenzen

- Ermittlung von Präferenzen mittels
  - Rating Scale
  - Standard Gamble
  - Time Trade-Off
  - Person Trade-Off
  - Zahlungsbereitschaft
- bei
  - Betroffenen
  - Angehörigen
  - allgemeine Bevölkerung
  - Professionelle im Gesundheitswesen
- unter Beachtung von u.a.
  - chronischen oder temporären Zuständen
  - unterschiedlichen Zeithorizonten

Quelle: Schöffski 2007

# Gliederung

- Thesen
- Was brauchen wir für eine valide Kosten-Nutzen-Bewertung?
  - Nutzenbewertung
  - Kostenerfassung
  - Modellierung als Ausweg?
- **Ist §35b ein brauchbarer Einstieg?**
- Fazit

# Instrumente zur Kostenkontrolle

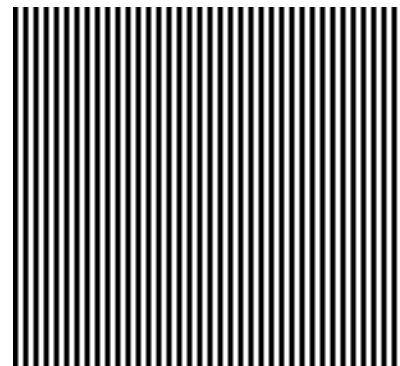
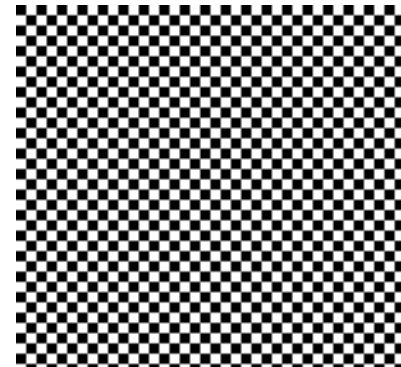
- Arzneimittelpreisverordnung (§78 AMG)
- Negativliste (§34 SGB V)
  - inklusive genereller Ausschluss nicht-verschreibungspflichtiger Medikamente / OTC-Ausnahmeliste
- Verordnungseinschränkungen / -ausschlüsse (§92,1 SGB V)
- Festbeträge (§35 SGB V)
- Aut-Idem-Regelung (§129 SGB V)
- Rabattverträge (§130a SGB V)
- Kosten-Nutzen-Bewertung (§35b SGB V)
- Zweitmeinung (§73d SGB V)
- Therapiehinweise



# Gesetzliche Rahmenbedingungen

- Kosten-Nutzen-Bewertung *kann* Grundlage für die allerdings obligate Festsetzung eines Höchstbetrags durch den Spitzenverband Bund (SpiBu) sein, wenn ein Arzneimittel
  - neuartig (patentgeschützt) oder sonst von Bedeutung ist;
  - nicht festbetragsfähig ist;
  - nur, wenn keine zweckmäßige Therapiealternative zur Verfügung steht oder die Kosteneffektivität erwiesen ist;
  - ausreichende Kenntnisse über die Wirksamkeit vorhanden sind.
  - Außerdem: Berücksichtigung der Entwicklungskosten
- alternativ: Einvernehmen des SpiBu mit dem Pharmaunternehmen

# Nutzen und Kosten: getrennt oder integriert bewerten?



# „Kosten-Nutzen-Bewertung“?

- §31 Abs. 2a: „Kosteneffektivität“ / „Kosten-Nutzen-Bewertung“,  
§35b Abs. 1: „Kosten-Nutzen-Verhältnis“
- allerdings präzisiert das SGB V den Begriff Nutzen, so dass sowohl Kosten-Nutzwert-Analysen wie auch Kosten-Effektivitäts-Analysen gemeint sein können (§35b SGB V)
- eindeutig ist aber, dass vergleichende gesundheitsökonomische Analysen gemeint sind

# Welche Art der Analyse ist möglich?

- Kosten-Minimierung: nein
- Kosten-Wirksamkeit: ja
- Kosten-Nutzen: nein
- Kosten-Nutzwert: ja

	<b>Kosten</b>	<b>Nutzen</b>	<b>Beispiel</b>
<b>Kosten-Effektivitäts-Analyse</b>	Kosten monetär	Effektivität klinisch	GE/mmHg; GE/gew. Lebensjahr
<b>Kosten-Nutzwert-Analyse</b>	Kosten monetär	Nutzwert Index	GE/QALY GE/DALY

GE=Geldeinheit

# Modellierung als Ausweg?

- sinnvoll u.a. für längeren Zeithorizont oder Anpassung an nationalen Kontext
- ermöglicht Synthese verschiedener Datenquellen
- Ergebnis stark von Annahmen und Modellstruktur abhängig, daher hohe Anforderung an Transparenz
- Qualitätsanforderungen sind vorhanden und müssen angewendet werden
- **aber: ein fehlender Nutzenbeleg kann nicht errechnet werden!**

# Fazit

- die Voraussetzungen für die Verbesserung der Datenlage bei der Nutzenbewertung sind gegeben
- die Datenlage für eine valide Kostenbewertung in Deutschland ist nur mittelfristig zu verbessern
  - Schlüsselrolle für Gesetzgeber und Krankenkassen