

Würdigung der Stellungnahmen zur
„Methodik für die Bewertung von
Verhältnissen zwischen Nutzen und Kosten
im System der deutschen gesetzlichen
Krankenversicherung Version 1.0“

09.10.2008

Kontakt:

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG)

Dillenburger Straße 27

D-51105 Köln

Tel.: +49 (0)221 / 35685-0

Fax: +49 (0)221 / 35685-1

E-mail: knb-methoden@iqwig.de

Inhaltsverzeichnis

Inhaltsverzeichnis.....	i
Einführung.....	1
1 Die Methodik entspricht nicht den internationalen Standards	4
2 Die Effizienzgrenze bietet Entscheidungsträgern keine nützlichen Informationen	8
3 Der Fokus auf einen Indikationsbereich ist unangemessen	17
4 Die vorgeschlagene Perspektive ist unangemessen	19
5 Die Bewertung des Nutzens und der Notwendigkeit einer Kardinalskala ist unzureichend erklärt.....	21
6 Der vorgeschlagene Ansatz ist nicht machbar	23
Literaturverzeichnis.....	24

Einführung

Die erste Version der Methodik für die Bewertung von Verhältnissen zwischen Nutzen und Kosten im System der deutschen gesetzlichen Krankenversicherung wurde im Januar 2008 publiziert und hierdurch Gelegenheit zur Einreichung von Stellungnahmen gegeben. Von 46 Organisationen wurden bis zum Ablauf der Stellungnahmefrist im März schriftliche Stellungnahmen eingereicht (Tabelle 1). Alle Mitglieder des Expertenpanels erhielten Übersetzungen der schriftlichen Stellungnahmen und alle Stellungnahmen wurden sorgfältig von Mitarbeitern des IQWiG und den Mitgliedern des Expertenpanels durchgesehen.

Die Stellungnahmen können allgemein in zwei Gruppen eingeteilt werden: in Stellungnahmen, die auf die Methode selbst Bezug nehmen, und in Stellungnahmen, die nicht direkt die Methode betreffen, aber Aspekte des Bewertungsablaufs in Deutschland, der Gesetzgebung, Industriepolitik, IQWiG-interne Abläufe und so weiter aufgreifen. Es wurden auch ergänzende Details nachgefragt, insbesondere wurde eine schnelle Publikation der technischen Anhänge gefordert. In diesem Dokument werden nur die erstgenannten substanziellen Stellungnahmen adressiert. Insbesondere wurde nicht auf den Ablauf von Evaluationen im IQWiG – inklusive der Durchführung der Nutzenbewertung als Voraussetzung der ökonomischen Evaluation – eingegangen.

Das Expertenpanel hat sich im April 2008 getroffen, um die substanziellen Stellungnahmen zu diskutieren. Die eingegangenen Stellungnahmen wurden thematisch gegliedert und ihre Würdigung durch das Expertenpanel und das IQWiG erfolgt als Antwort in diesem separaten Dokument. Wo es angemessen erschien, wurde das Methodenpapier entsprechend angepasst. Von vorn herein ist anzumerken, dass es sich bei den Methoden um einen Ansatz zur Höchstbetragsfestsetzung handelt, der nicht per se als Entscheidungsregel für Ressourcenallokationsentscheidungen im Gesundheitssystem gedacht ist.

Tabelle 1: Organisationen, Institutionen, Hersteller und Privatpersonen, die Stellungnahmen zum Methodenvorschlag eingereicht haben. Eine ausführliche Übersicht über die Stellungnahmen findet sich in dem Anhang „Dokumentation der Stellungnahmen“.

A 1	Stellungnahmen von Organisationen, Institutionen und Herstellern
A 1.1	Arzneimittelkommission der deutschen Ärzteschaft
A 1.2	AstraZeneca GmbH
A 1.3	Bundesarbeitsgemeinschaft Selbsthilfe von Menschen mit Behinderung und chronischer Erkrankung und ihren Angehörigen e. V. (BAG Selbsthilfe)
A 1.4	Bundesverband der Arzneimittel-Hersteller (BAH)
A 1.5	Bundesärztekammer (BÄK)
A 1.6	Bayer Vital GmbH
A 1.7	Bundesverband der landwirtschaftlichen Krankenkassen
A 1.8	Bundesverband Managed Care (BMC)
A 1.9	Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie (BPI)
A 1.10	Bundesverband Prostatakrebs Selbsthilfe e. V. (BPS)
A 1.11	Bundesverband Medizintechnologie e. V. (BVMed)
A 1.12	Centre for Health Economics, Univ. of York, UK
A 1.13	Centre for Health Economics, Univ. of York, UK und Department of Health Policy and Management, Erasmus MC, NL
A 1.14	Deutsche Morbus Crohn / Colitis ulcerosa Vereinigung DCCV e. V.
A 1.15	Deutscher Diabetiker Bund e. V.
A 1.16	Deutsche Gesellschaft für Gesundheit e. V. (DEUGE)
A 1.17	Deutscher Gewerkschaftsbund (DGB)
A 1.18	Deutsche Gesellschaft zur Bekämpfung von Fettstoffwechselstörungen und ihren Folgeerkrankungen (DGFF)
A 1.19	Deutsche Gesellschaft für Gerontologie und Geriatrie (DGGG), Bundesarbeitsgemeinschaft Geriatrie, Deutsche Gesellschaft für Geriatrie (DGG)
A 1.20	Deutsche Gesellschaft für Psychiatrie, Psychotherapie und Nervenheilkunde (DGPPN)
A 1.21	Arbeitsgruppe Methoden der gesundheitsökonomischen Evaluation (AG MEG) der Deutschen Gesellschaft für Sozialmedizin und Prävention (DGSMP)
A 1.22	Deutsche Krankenhaus Gesellschaft (DKG)
A 1.23	GlaxoSmithKline GmbH & Co. KG
A 1.24	Hirnliga e. V.
A 1.25	Institut für Ethik und Geschichte in der Medizin, Universität Tübingen
A 1.26	Institut für Medizininformatik und Biostatistik (IMIB), Schweiz
A 1.27	Institut für Volkswirtschaftslehre und Wirtschaftsrecht, Technische Universität Berlin
A 1.28	IMS Health GmbH & Co. OHG
A 1.29	Johnson & Johnson Holding GmbH
A 1.30	Janssen-Cilag GmbH
A 1.31	Kassenzahnärztliche Bundesvereinigung (KZBV)
A 1.32	Lundbeck GmbH
A 1.33	NEOS Health, Schweiz
A 1.34	Novartis Pharma GmbH
A 1.35	Pharmaceutical Research and Manufacturers of America (PhRMA), USA
A 1.36	Pharmaceutical Outcomes Research & Policy Program, University of Washington, USA
A 1.37	Professur Frauenforschung und Osteologie, Charité-Universitätsmedizin Berlin
A 1.38	Sanofi-Aventis GmbH

(Fortsetzung)

Tabelle 1: Organisationen, Institutionen, Hersteller und Privatpersonen, die Stellungnahmen zum Methodenvorschlag eingereicht haben. Eine ausführliche Übersicht über die Stellungnahmen findet sich in dem Anhang „Dokumentation der Stellungnahmen“. (Fortsetzung)

A 1	Stellungnahmen von Organisationen, Institutionen und Herstellern
A 1.39	United BioSource Corporation, USA
A 1.40	Verband der Diagnostica Industrie e. V. (VDGH)
A 1.41	Verband Forschender Arzneimittelhersteller e. V. (VFA)
A 1.42	Ausschuss für Gesundheitsökonomie im Verein für Socialpolitik (VfS)
A 1.43	Verbund Klinische Pharmakologie in Deutschland e. V. (VKliPha)
A 1.44	Wissenschaftliches Institut der Techniker Krankenkasse für Nutzen und Effizienz im Gesundheitswesen (WINEG)
A 2	Stellungnahmen von Privatpersonen
A 2.1	Prof. Dr. jur. Ulrich Gassner, Mag.rer.publ., M. Jur. (Oxon)
A 2.2	Prof. Dr. Heinz Letzel (†)

1 Die Methodik entspricht nicht den internationalen Standards

Zusammenfassung: Die Hauptkritik an dem Methodenvorschlag war, dass eine andere Methodik für gesundheitsökonomische Evaluationen vorgeschlagen wird als die herkömmliche, gängige Kosten-Nutzwert-Analyse mit dem QALY als Maßeinheit des Nutzens. Im Gegensatz dazu basiert die vorgeschlagene Methodik nach Aussage der Stellungnehmenden auf einem Konzept, das nicht weit verbreitet ist und daher nicht die gesetzlichen Anforderungen erfüllt.

Antwort: Es gab keine Möglichkeit, Notwendigkeit oder Rechtfertigung im deutschen Kontext, sich ausschließlich auf die Kosten-Nutzwert-Analyse und das QALY-Konzept im Besonderen zu konzentrieren. Der Grund hierfür liegt darin, dass dem Panel ein Mandat vom IQWiG erteilt wurde, das diesen speziellen Fokus nicht fordert. Während diskutiert werden kann, ob dem Panel ein anderes Mandat hätte erteilt werden können oder müssen, hat es das Panel vorgezogen, sich der interessanten Herausforderung zu stellen, die in dem aktuell erteilten Mandat enthalten ist. Dies war die Überprüfung, ob man Informationen aus dem gegebenen Stand der Dinge innerhalb eines Indikationsbereichs gewinnen kann, die als Handlungsempfehlung für den Entscheidungsträger in Bezug auf die Festsetzung von Höchstbeträgen dienen. Unsere Schlussfolgerung lautet, dass es möglich ist, solche Informationen im Einklang mit grundlegenden ökonomischen Prinzipien herzuleiten. Es sollte beachtet werden, dass die Belastbarkeit der Handlungsempfehlung vom gegebenen Sachverhalt abhängig ist, u. a. auch von der Anzahl der bestehenden Therapien (Datenpunkte) in dem betreffenden Indikationsbereich.

Im Methodenentwurf wird ausgeführt, dass die Effizienzgrenze in der Medizin nicht häufig angewendet wird. Es wäre eindeutiger gewesen, wenn die Aussage gelautet hätte „wird nicht häufig explizit angewendet“, da die Effizienzgrenze auf der grundlegenden Theorie basiert, die auch hinter allen Ansätzen der Kosten-Nutzwert-Analysen steht, und sie ist daher das theoretische Fundament aller „Standard“-Methoden, die heute angewendet werden.

Die derzeit vorherrschende Methodik beinhaltet die Bewertung der inkrementellen Kosten und Gesundheitseffekte einer betrachteten Intervention im Vergleich zu einer oder mehreren Vergleichsinterventionen (Komparatoren), die als relevant eingeschätzt wurden.

Die Gesundheitseffekte werden häufig durch die Zusammenfassung von Lebenserwartung und Lebensqualität in einen einzigen Wert des Nutzens, das QALY, umgewandelt. Dies geschieht unter der Prämisse, dass dieses aggregierte Maß die entsprechenden gesellschaftlichen Werte in kardinaler Weise widerspiegelt. Die zwei Komponenten, Kosten und QALYs, werden durch die Bildung eines Verhältnisses der inkrementellen Kosten zu den inkrementellen QALYs zusammengefasst. Dieses Kosten-Nutzwert-Verhältnis wird Entscheidungsträgern mit der Grundannahme zur Verfügung gestellt, dass diese es zur Beurteilung verwenden, ob der zusätzliche Nutzen der Intervention steigende Kosten rechtfertigt.

Das inkrementelle Kosten-Nutzen-Verhältnis erlaubt nicht per se eine Aussage, ob es vernünftig ist, in eine neue Intervention zu investieren. Diese Beurteilung erfordert einen externen Richtwert, der anzeigt, wie viel die Gesellschaft bereit ist für eine zusätzliche Nutzeneinheit (in den meisten Fällen ein QALY) zu zahlen. Es wird anerkannt, dass prinzipiell ein Bedarf an externen Kriterien für die Beurteilung der Zumutbarkeit eines Preises besteht. Die Betrachtung der Effizienz einer neuen Therapie unter Berücksichtigung der Effizienzen in anderen Bereichen der medizinischen Versorgungspaxis wird als Möglichkeit im Entscheidungsprozess nicht ausgeschlossen.

Dem Panel ist aufgefallen, dass in vielen kritischen Aussagen zum Methodenentwurf mit der Kosten-Nutzwert-Analyse und den QALYs eher unkritisch umgegangen wird. Es entspricht der Tatsache, dass diese auf dem QALY-Konzept basierende Kosten-Nutzwert-Analyse in wissenschaftlichen Publikationen für viele Jahre sehr prominent war und eine Hilfe für gegenwärtige Ressourcenallokationsentscheidungen in einigen Ländern (z. B. Vereinigtes Königreich und Australien) darstellt. Jedoch zeigte sich eine Abnahme der Akzeptanz der Kosten-Nutzwert-Analyse in vielen anderen Ländern durch Entscheidungsträger und Kliniker aufgrund von Bedenken bezüglich Solidarität, Gleichheit und Gerechtigkeit. Nach derzeitigem Trend wird vielmehr danach gefragt, wie diese Verteilungsaspekte ein größeres Gewicht in ökonomischen Analysen erhalten können, als es bisher der Fall ist. Zum Beispiel stellt das NICE im Vereinigten Königreich diese Frage, wenn es sich mit Studien zum „gesellschaftlichen Nutzen eines QALY“ befasst. Ein von der ISPOR im November 2007 organisierter Konsensus-Workshop zeigt zudem eindeutig großes Interesse an dieser Frage [1]. Wenn sich Entscheidungsträger in Deutschland dafür entscheiden sollten, den Nutzen in

der Gesundheitsversorgung durch Einbezug von systematischen indikationsübergreifenden Vergleichen der Ressourcenverbräuche zu maximieren, wäre es unbefriedigend für sie, einzig und allein auf Vergleiche der Kosten / QALY zurückgreifen zu können. Das IQWiG wird mit deutschen Gesundheitsökonomen bei der Entwicklung der Methoden zur Bewertung der Gesundheitsversorgung für Personen mit unterschiedlichen Krankheitsschweregraden und / oder unterschiedlichem Potenzial zur Erzielung eines Gesundheitsgewinns („Vermögen zu profitieren“) zusammenarbeiten. Herkömmliche QALYs sollten nur als ein Indiz für die absolute Größe des Outcomes angesehen werden und bieten hierdurch nur in geringem Ausmaß eine Handlungsanleitung bei der Priorisierung.

Die Anwendung des Kosten-Nutzwert-Verhältnisses zur Bestimmung, ob ein gegebener Preis zumutbar ist - ob im Vergleich mit einer „gesetzten“ oder einer empirischen Schwelle - basiert auf einer grundlegenden Annahme: Alle Interventionen, die gegenwärtig erstattet werden, liegen auf der Effizienzgrenze. Zusätzlich darf die am wenigsten effiziente der erstattungsfähigen Interventionen nicht weniger effizient sein als der Schwellenwert. Wenn diese Bedingungen nicht erfüllt sind, ist die Aussagekraft des isolierten Kosten-Nutzwert-Verhältnisses einer neuen Intervention stark geschwächt, weil dieses dann nur den Vergleich zu einer ineffizienten Intervention widerspiegeln könnte, bei der das Schwellenkriterium nicht erfüllt ist. Unabhängig davon wie haltbar diese Bedingungen im jeweiligen realen Kontext sind, ist der Hauptaspekt dieser Diskussion, dass die Verwendung des Kosten-Nutzwert-Ansatzes zur Höchstbetragsfestsetzung implizit auf dem Konzept der Effizienzgrenze basiert.

Die vorgeschlagene Methode fußt auf dem gleichen grundlegenden Konzept wie die derzeit gängigen Ansätze. Sie ist konsistent mit den Grundlagen der permanent geforderten „internationalen Standards“. Dennoch unterscheiden sich die Methoden von den gebräuchlichen Anwendungen in einigen Aspekten.

Erstens fordert das IQWiG, dass die Effizienzgrenze explizit hergeleitet wird. Durch dieses Vorgehen kann die Haltbarkeit der Annahme, dass die bestehenden Interventionen auf der Effizienzgrenze liegen, direkt untersucht werden. Von dieser Information selbst kann man erwarten, dass sie nützlich für alle Akteure des Gesundheitswesens ist.

Zweitens empfiehlt die Methode, statt der Verwendung eines universellen Schwellenwerts, die Verwendung der Effizienzgrenze an sich zur Ermittlung der vorherrschenden niedrigsten

Effizienz auf der Effizienzgrenze in einem ausgewählten Indikationsbereich auf dem deutschen Markt.

Der dritte hauptsächliche Unterschied ist nicht methodischer, sondern philosophischer Natur. Durch Anwendung eines einzigen Schwellenwertes, welcher von Gutachtern indikationsübergreifend im Gesundheitssystem abgeleitet wurde, nimmt eine Institution für sich die Rolle in Anspruch, soziale Prioritäten zu bestimmen. In der Tat hat das Deutsche Bundesministerium für Gesundheit klargestellt, dass in Deutschland die Grundauffassung vorherrsche, dass eine derartige Priorisierung nicht in die Zuständigkeit der HTA-Agentur falle, sondern stattdessen Aufgabe der Politik sei und somit ein universeller Schwellenwert kein Bestandteil der Methodik sein sollte.

„Der Ansatz, Arzneimittel mit Kosten oberhalb eines festgesetzten, einheitlichen Schwellenwerts von der Leistungspflicht auszuschließen, ist mit der gesetzlichen Regelung in Deutschland unvereinbar“ (Bundesministerium für Gesundheit: Stellungnahme zur Methodik der Kosten-Nutzen-Bewertung von Arzneimitteln).

Anmerkung: Das Panelmitglied Erik Nord würde die Beziehung zwischen dem Konzept der Effizienzgrenze und der Kosten-Nutzwert-Analyse etwas anders beschreiben. Dies ist jedoch von geringer praktischer Bedeutung im gegenwärtigen Kontext. Der Ansatz der Effizienzgrenze wird von ihm als theoretisch einwandfrei und prinzipiell nützlich für das IQWiG beurteilt.

Vorgehen: In der neuen Zusammenfassung und dem Text, der dem Methodenentwurf hinzugefügt wurde, wurde deutlicher gemacht, dass es nicht beabsichtigt war, die Kosten-Nutzwert-Analyse und QALYs als Bestandteile des Methodenrepertoires, das dem IQWiG zur Verfügung steht, auszuschließen. Text und Referenzen wurden ergänzt, um die zentralen Punkte dieser Stellungnahme zu verdeutlichen.

2 Die Effizienzgrenze bietet Entscheidungsträgern keine nützlichen Informationen

Zusammenfassung: Obwohl allgemein anerkannt wurde, dass das Konzept der Effizienzgrenze selbst theoretisch begründet ist, stellten viele Stellungnahmen den Informationsgehalt der Effizienzgrenze für Entscheidungsträger im Gesundheitssystem infrage. Bedenken wurden ebenfalls geäußert, dass die Anwendung der Effizienzgrenze negative Auswirkungen auf Innovationen habe und zu einer Verweigerung von Therapieoptionen von Patienten führen könne. Die Stellungnehmenden forderten eine vertiefte Darstellung der Grundlagen des Ansatzes der Effizienzgrenze. Es gab außerdem Forderungen nach zusätzlichen Details hinsichtlich der Wahl der Komparatoren, der Bestimmung des Ursprungs des Koordinatensystems, der Verwendung von absoluten versus relative Werte, der Anforderungen an die Daten ökonomischer Evaluationen, der für das IQWiG akzeptablen Studientypen, der Methoden für Sensitivitätsanalysen und zur Quantifizierung und Darstellung von Unsicherheit.

Antwort: Die Effizienzgrenze und ihre Fortführung bieten nützliche Informationen für Entscheidungsträger, die konsistent mit dem gegenwärtigen deutschen Markt sind und keine weiteren externen Annahmen erfordern. Die Effizienzgrenze bietet jedoch KEINE Entscheidungsregel. Die tatsächliche Entscheidung kann andere Überlegungen einschließlich Finanzierbarkeit (der Methodenentwurf deckt diesen Aspekt ebenfalls mit ab), Prioritäten der Regierung, Industriepolitik usw. enthalten.

Ebenfalls bietet die Effizienzgrenze keinen „normativen“ Preis, weil dieser nicht existiert, auch nicht im Prinzip. Es kann keinen „richtigen“ Preis geben, da dies erfordern würde, dass ein bestimmter Nutzen einen spezifischen richtigen Wert hat. Weil der Wert eines gegebenen Nutzens von vielen Dingen abhängig ist, einschließlich des Kontextes, der Verfügbarkeit von anderen Optionen, wahrgenommener Krankheitsschwere, ethischen und sozialen Aspekten und sogar von der Zeit, ist die Festsetzung eines normativen Wertes nicht haltbar. Die Effizienzgrenze zeigt nur den Preis an, der mit der gegenwärtigen Bewertung am Markt konsistent ist.

Wie bereits in der Antwort auf das erste Thema angemerkt, hat das Expertenpanel kein neues Konzept erfunden, sondern vorgeschlagen, die zugrunde liegende Effizienzgrenze explizit zu

machen. Die Begründung für die Anwendung der Effizienzgrenze ist die gleiche wie beim Fokus auf inkrementelle Kosten-Nutzwert-Verhältnisse: Effizienz ist ein bedeutender Aspekt für Entscheidungsträger. Die Autoren hatten den Eindruck, dass es für Entscheidungsträger nützlich wäre, wenn die Effizienz und ihre Komponenten explizit berechnet und dargestellt werden. Hieraus ergibt sich die Frage: Wird in Abwesenheit eines Kosten-Nutzwert-Verhältnisses noch immer nützliche entscheidungsrelevante Information bereitgestellt? Nach Ansicht des Expertenpanels und des IQWiGs ist dies der Fall; in der Tat sind die weniger aggregierten, ausführlicheren Informationen, die durch die Abbildung existierender Therapien zur Verfügung gestellt werden, für sich genommen bereits bedeutungsvoll für Entscheidungsträger sind. Es ist schwierig nachzuvollziehen, wie eine explizite Wiedergabe der gegenwärtigen Effizienzen verfügbarer Interventionen innerhalb eines Indikationsbereichs nicht nützlich für Entscheidungsträger sein könnte. Es wird deutlich, wie viel Nutzen man zu welchen Kosten erhält und wie Interventionen im Moment in Deutschland im Verhältnis zueinander positioniert sind. Dies scheint eine Mindestvoraussetzung für eine sachgerechte Bewertung von jeder neuen Intervention zu sein.

Das Zeichnen der Effizienzgrenze in einer besonderen Grafik liefert zusätzliche Informationen. Erstens zeigen die Punkte entlang der Effizienzgrenze die geringsten Nettokosten auf, zu denen ein gegebenes Nutzenniveau derzeit in Deutschland erreicht werden kann. Hierdurch bilden sie ab, was im Hinblick auf die Kosten in diesem Indikationsbereich erreicht werden kann. Preise, die eine Intervention rechts der Effizienzfront platzieren, weisen auf eine niedrigere Effizienz hin und erfordern daher eine zusätzliche Begründung. Die Effizienzgrenze ermöglicht es Entscheidungsträgern demnach, die bestehenden Interventionen im Verhältnis zueinander zu betrachten.

Entscheidungsträger können sich entschließen die bestehende Effizienzgrenze in zwei verschiedenen Varianten als Handlungsempfehlung zu nutzen: Einerseits können sie daraus ableiten, dass eine neue Therapie mit geringerem Nutzen als die existierende mit dem höchsten Nutzen zu einem Betrag erstattet werden sollte, der mit der Effizienzgrenze konsistent ist, sofern nicht Belege vorgelegt werden, die für ein anderes Vorgehen sprechen. Andererseits besteht wenig Anlass, den Preis zu verhandeln, wenn der Preis und der Nutzen derart sind, dass die Therapie oberhalb der Effizienzgrenze liegt, d. h. effizienter als bestehende Interventionen ist und hierdurch wenig Grund besteht, den Preis zu verhandeln.

Die Grafik zeigt eindeutig ineffiziente Interventionen (z. B. diejenigen, die gleichzeitig teurer sind als andere bestehende Interventionen und weniger Nutzen stiften). Dies eröffnet die Möglichkeit für Fragen, ob der Preis solcher Interventionen gesenkt werden müsste, wenn sie weiterhin voll von der gesetzlichen Krankenversicherung erstattet werden sollen.

Zweitens ermöglicht die Extrapolation der bestehenden Effizienzgrenze in den Bereich mit höherem Nutzen als der der bisher ermittelten Werte eine Handlungsempfehlung für Höchstbeträge von Interventionen, die einen überlegenen Nutzen bieten. Das extrapolierte Liniensegment zeigt den Höchstbetrag an, der mit den gegenwärtigen Marktinformationen konsistent ist. Höhere Preise würden die Akzeptanz einer geringeren Effizienz implizieren und hierdurch eine zusätzliche Begründung erfordern. Die Hersteller müssen gute Argumente vorbringen, wenn die implizite Effizienz bestehender Interventionen nicht erreicht werden kann, und Entscheidungsträger müssten erwägen, ob für diese der vorgeschlagene Preis aufrechterhalten werden kann. Es ist in dem Sinne zu verstehen, dass die Projektion der Effizienzgrenze eine Handlungsempfehlung, keine automatische Regel für Höchstbetragsfestsetzungen darstellt.

Die Steigung der Effizienzgrenze nimmt im Verlauf von links nach rechts ab. Dies ergibt sich aus der Konstruktion der Effizienzgrenze, aber in einem Indikationsbereich mit einer ausreichenden Zahl von Therapieoptionen (genug Beobachtungen, um einen Trend zu zeigen) kann die abnehmende Steigung auch den abnehmenden Grenznutzen widerspiegeln (z. B. die Tatsache, dass sogar in dem Teilbereich der effektivsten Therapien ansteigende Forschungs- und Entwicklungs- sowie Produktionskosten zunehmend weniger zusätzlichen Nutzen erbringen). Die Effizienzgrenze zeigt den Verlauf des abnehmenden Grenznutzens auf. Der Grad der Abnahme zeigt an, „was erwartet werden kann“ im Hinblick auf Kostenzuwächse für neue Therapien, die einen höheren Nutzen als frühere erbringen. Es ist zu bedenken, dass in einem Bereich mit wenig konkurrierenden Therapien für die Interpretation der Effizienzgrenze in dieser Richtung nur eine schwache Grundlage vorhanden ist.

Eine andere Interpretation der Effizienzgrenze ist möglich, wenn der Preis der letzten (besten und teuersten) Therapie auf der Effizienzgrenze das Ergebnis einer öffentlichen Evaluation und Entscheidung im Vergleich zum Preis der zweitbesten Therapie auf der Effizienzgrenze ist. Sollte dies der Fall sein, zeigt das letzte Liniensegment der Effizienzgrenze die Grenzzahlungsbereitschaft für steigenden Nutzen in dem betreffenden Indikationsbereich an.

Eine neue Therapie, die ein besseres inkrementelles Nutzen-zu-Kosten-Verhältnis ausweist (relativ zur bisherigen besten Therapie) kann a priori als konsistent zur ermittelten Zahlungsbereitschaft angesehen werden. Entscheidungsträger müssten weiterhin überlegen, ob die bisherige Zahlungsbereitschaft noch immer angesetzt werden kann, wenn neue, teurere Technologien entwickelt wurden.

Die vorgeschlagene Anwendung der Effizienzgrenze adressiert keine sozialen Präferenzen bezüglich indikationsübergreifender Erstattungsprioritäten, da das IQWiG dies nicht als sein Mandat verstanden hat. Diese werden den Entscheidungsträgern überlassen, denen diese Verantwortung im deutschen Gesundheitssystem übertragen wurde. Es sollte jedoch angemerkt werden, dass diese Entscheidungsträger durch Festsetzen eines Budgets (und Darlegung einer entsprechenden Begründung) für jeden Indikationsbereich ihre Priorisierung explizit machen können, falls sie dies wünschen sollten. Hierdurch gewinnt die Grafik der Effizienzgrenze eine zusätzliche Schwelle, und eine weitere Handlungsempfehlung steht zur Verfügung, insbesondere für Interventionen, die überlegenen Nutzen bei gestiegenen Kosten erbringen.

Die Autoren erkennen an, dass der durch die derzeitigen Preise und Nutzen widergespiegelte „Marktwert“ nicht notwendigerweise mit der Zahlungsbereitschaft der Versicherten für diesen Nutzen korrespondiert (angesichts der Tatsache, dass die Versicherten in den meisten Fällen nicht gefragt wurden). Wenn es als wichtig erachtet werden sollte, die Bereitschaft der GKV-Versicherten, für den jeweiligen Nutzen zu zahlen, explizit mit zu berücksichtigen, könnte diese erhoben und die Information in die Grafik der Effizienzgrenze als Gradienten mit eingezeichnet werden, in Bezug zu denen die gesamte Effizienzgrenze unter Einbezug jeder Projektion beurteilt werden kann. Hieran könnte deutlich werden, dass sogar einige (oder alle) Interventionen, die auf der Effizienzgrenze liegen, nicht in Einklang stehen mit der von der Bevölkerung ausgedrückten Bewertung des Nutzens in diesem Indikationsbereich oder dass sogar geringere Effizienzen akzeptabel sein können.

Im Prinzip können Erhebungen zum Kosten-Leistungs-Verhältnis in anderen Indikationsbereichen zusätzlich im gleichen Diagramm veranschaulicht werden, um die Beurteilung der Zumutbarkeit von Preisen im betreffenden Anwendungsgebiet zu unterstützen. Dies setzt voraus, dass der Nutzen in diesen anderen Anwendungsgebieten mit der gleichen (oder einer übertragbaren) Skala gemessen wurde wie in dem betreffenden

Anwendungsgebiet (z. B. Mortalität, Lebenserwartung, Lebensqualität, QALYs, gerechtigkeitsadjustierte QALYs).

Diese Erweiterungen der Methoden sind vollständig konsistent mit der vorgeschlagenen Verwendung der Effizienzgrenze.

Es wurde in den Stellungnahmen darauf hingewiesen, dass Ineffizienzen, die – wahrscheinlich nicht auf der Basis von expliziten Evaluationen – bereits entstanden sind, durch die vorgeschlagene Methodik weitergeschrieben werden. Es ist richtig, dass sich neue Entscheidungen auf das, was auf dem Markt vorhanden ist, beziehen, wenn Informationen aus dem gegenwärtigen Marktgeschehen verwendet werden, um Preisfestsetzungen herzuleiten. Eine neuere Intervention würde bestehende Ineffizienzen aufdecken, indem sie einen höheren Nutzen bei gegebenen Kosten bietet und hierdurch den Verlauf der Effizienzgrenze neu definiert. Zusätzlich können diejenigen Therapien, die innerhalb eines Indikationsbereichs am ineffizientesten sind, identifiziert werden und dementsprechende Entscheidungen getroffen werden, wenn die Bereitschaft besteht, sowohl die alten als auch die neuen Therapien zu evaluieren.

Damit im Zusammenhang steht ein weiterer in den Stellungnahmen angesprochener Aspekt: Es wurde keine wissenschaftliche oder normative Rechtfertigung angeführt, Handlungsempfehlungen zu neueren Interventionen auf Grundlage der Effektivität von gegenwärtig in einem entsprechenden Marktsegment verfügbaren Interventionen abzugeben. Mit anderen Worten: Wodurch wird die Verwendung des Marktgeschehens zur Herleitung von Handlungsempfehlungen gerechtfertigt? Man kann sicher davon ausgehen, dass Märkte im Gesundheitsbereich stark durch Regulation und andere Einflüsse „verzerrt“ sind, aber den Autoren ist unklar, warum Entscheidungsträger in ihren Entscheidungen nicht durch die Darstellung des Nutzens, den bestehende Interventionen zu bestehenden Kosten erzielen, unterstützt werden sollten.

Es zeigten sich in den Stellungnahmen verschiedene Missverständnisse. Eins davon lautet, dass die Methodik vorschlägt, vergangene inkrementelle Zahlungsbereitschaft für zusätzlichen Nutzen in einem Indikationsbereich zu verwenden. Dies ist nicht der Fall, denn eine Handlungsempfehlung, die auf derartigen veralteten Informationen beruht, wäre nicht länger haltbar. Die Methodik schlägt die Verwendung der Kosten, inklusive der Preise, vor,

die zum Zeitpunkt der Evaluation auf dem Markt existieren. Es handelt sich um den aktuellen Kontext, der relevant ist.

Ein anderes Missverständnis ist, dass die Methodik ein gesteigertes Risiko für die Vorenthaltung von (mutmaßlich nützlichen) Therapien für Patienten darstellt. Die Methode selbst bewirkt nichts dergleichen. Sie beschreibt einen Ansatz, Informationen für Entscheidungsträger zur Höchstbetragsfestsetzung abzuleiten und bereitzustellen. Abhängig vom gewählten Höchstbetrag und der Reaktion der Hersteller auf diese Entscheidung kann die Intervention besser oder schlechter erhältlich sein, als sie es vor der Evaluation war. Aber dies resultiert daraus, dass Evaluationen durchgeführt wurden und danach gehandelt wurde, nicht aus einer bestimmten Methodik. Nichts an der Methode der Effizienzgrenze beschränkt die Verfügbarkeit mehr als andere Methoden; im Gegenteil, die explizite Darstellung des gegenwärtigen Marktes, insbesondere die Akzeptanz des abnehmenden Grenznutzens in einem Indikationsbereich, sollte in einem weniger restriktiven Ansatz resultieren.

Ein drittes Missverständnis ist, dass die Methodik die Verwendung von absoluten Werten erfordert, keine Ableitung von inkrementellen Kosten-Effektivitäts-Verhältnissen erlaubt und eine Option „nichts tun“ (keine Kosten, kein Nutzen) als Ursprung erzwingt. Es ist unklar, wie diese falschen Interpretationen entstehen konnten. Die Methodik spezifiziert, dass die Schätzung der Kosten und des Wertes des Nutzens im Verhältnis zu der Referenzoption erfolgt, die in dem jeweiligen Indikationsbereich als angemessen beurteilt wird. Dies kann eine Alternative „nichts tun“ oder es könnte eine unterstützende Versorgung sein. In jedem Fall werden die Kosten und der Nutzen der aktiven Interventionen relativ zur Referenzoption eingeschätzt: Sie sind bereinigt von den Kosten und Gesundheitseffekten dieser Alternative. In anderen Worten spiegeln sie die **Differenz** zwischen jeder Intervention und der Referenzintervention wider. Der Einfachheit halber können die Achsen, wie in den Methoden beschrieben, verschoben werden, sodass die Referenzintervention im Ursprung liegt. Dies impliziert auf keinen Fall, dass die absoluten Kosten und Effekte des Nichtstuns gleich null sind – nur dass die Kosten und Effekte der aktiven Interventionen relativ zur Referenzoption ausgedrückt werden.

Sobald die Interventionen in einem gegebenen Indikationsbereich im relativen Koordinatensystem eingezeichnet sind, stellen die Segmente der Effizienzgrenze die dekrementelle Effizienz dar, wenn der Nutzen ansteigt. Diese dekrementelle Effizienz ist

vollständig analog zu inkrementellen Kosten-Effektivitäts-Verhältnissen (tatsächlich der Kehrwert) und liefert die gleiche Art Information: wie viel mehr relativ zur nächstbesten Intervention ausgegeben werden muss, um einen zusätzlichen Nutzen zu erzielen. Wenn man dieses in Form der abnehmenden Effizienz darstellt, spiegelt es jedoch viel klarer den abnehmenden Grenznutzen in einem gegebenen Indikationsbereich wider.

Über die Fragen hinsichtlich des Informationsgehalts der Effizienzgrenze hinaus wurde Folgendes gefordert: (1.) eine klare Spezifikation der Studienarten, die die Anforderungen an die Daten für ökonomische Evaluationen erfüllen und für das IQWiG akzeptabel sind, (2.) Methodendetails zur Durchführung von Sensitivitätsanalysen sowie (3.) eine Beschreibung der Darstellung und Quantifizierung von Unsicherheit. Es wird angemerkt, dass diese zusätzlichen Details wichtig sind und dargestellt werden sollten.

Bezüglich der Sensitivitätsanalysen und der Darstellung von Unsicherheit sollte angemerkt werden, dass die vorgeschlagenen Methoden nichts fundamental Neues enthalten. Der Ansatz bezieht die Quantifizierung der Nettokosten und Netto-Gesundheitseffekte und eine Bewertung der Letzteren mit ein. Überall im Prozess gibt es verschiedene Variabilitätsquellen. Eine Art Variabilität ist diejenige, welche für relevante Interessengruppen von Belang ist. Mit anderen Worten: Das Verständnis der Faktoren, die das Ergebnis bestimmen, ist wichtig. Gibt es Patientengruppen, deren Versorgung teurer ist? Gibt es unterschiedliche Gesundheitseffekte in verschiedenen Patientensubgruppen? Gibt es Bedingungen, unter denen sich die Bewertung von spezifischen Gesundheitseffekten substantiell von der typischen Situation unterscheidet? Genau wie bei jedem gegenwärtigen ökonomischen Evaluationsansatz wird diese Art Variabilität, die für Entscheidungsträger interessant ist, ausdrücklich erforscht, indem die Determinanten untersucht werden und das Ausmaß getestet wird, mit dem Kombinationen dieser zu unterschiedlichen Schlussfolgerungen führen. Bei der Effizienzgrenze könnte diese Art Faktoren zur Definition von zusätzlichen Indikationsbereichen oder mehreren Effizienzgrenzen innerhalb eines Indikationsbereichs führen. Sie können ebenfalls stichhaltige Gründe für spezifische Interventionen liefern, die außerhalb der Effizienzgrenze liegen.

Die andere Art Variabilität ist diejenige, welche nicht für Interessengruppen von Belang ist. Diese Art Varianz erwächst aus der Unsicherheit in der Quantifikation von Inputs, aus stochastischen Elementen in der Modellierung von Kosten und Gesundheitseffekten, aus

Ungewissheit über die unterschiedlichen getroffenen Annahmen, aus fehlender Verlässlichkeit der den Versicherten zugeschriebenen Wertvorstellungen und dem Ausmaß, in dem eine geringere Effizienz als vernünftig angesehen wird. Idealerweise wird diese Art Variabilität kontrolliert, aber in der Realität ist es nicht möglich, dieses vollständig zu gewährleisten. Nachdem Schritte unternommen wurden, sie zu minimieren (z. B. durch Verwendung von geeigneten Varianzreduktionstechniken während der Modellierung), wird die verbleibende Unsicherheit quantifiziert und dargestellt. Diese nimmt bei der Effizienzgrenze die Form von Punktwolken für jede Intervention anstatt eines einzelnen Schätzwertes an und die Liniensegmente werden zu Bändern. Hierdurch ist die Ableitung eines präzisen Höchstbetrags nicht möglich; vielmehr werden den Entscheidungsträgern Bereiche präsentiert, in denen ein derartiger Höchstbetrag in dem gegebenen Markt und Indikationsbereich vernünftigerweise liegen könnte.

Hinsichtlich der Arten von Studien, die Input für ökonomische Evaluationen liefern und für das IQWiG akzeptabel wären, wird festgestellt, dass eine derartige Handlungsempfehlung sehr nützlich wäre für diejenigen, die derartige Studien durchführen oder finanzieren; insbesondere für Hersteller von Interventionen, die diese Investitionsentscheidungen treffen müssen, lange bevor eine Evaluation durchgeführt wird. Eindeutigerweise stammen die zuverlässigsten Wirksamkeitsmaße aus randomisierten klinischen Studien, die Techniken zur Reduktion des Bias in geeigneter Weise beinhalten, wie z. B. Verblindung und die Verwendung von Placebos. Ökonomische Evaluationen benötigen jedoch viele anderen Arten von Input und viele dieser können nicht in geeigneter Weise innerhalb des Designs randomisierter klinischer Studien erhoben werden, da diese einer anderen Art Bias als die Wirksamkeit unterliegen (z. B. prognostische Berechnungen, Profile des Ressourcenverbrauchs und Kosten). Hierdurch können ökonomische Evaluationen, wenn sie nützlich für Entscheidungsträger sein sollen, nicht einzig auf dem Evidenzniveau randomisierter klinischer Studien basieren. Sachgerecht geplante und durchgeführte Beobachtungsstudien sind erforderlich, um einige der zentralen Inputs für die Evaluation zu erhalten.

Weil zusätzlich nicht erwartet werden kann, dass eine einzige vergleichende Studie alle Alternativen abdeckt, ist es für eine vollständige Betrachtung der relevanten Interventionen in einem Indikationsgebiet notwendig, die Evidenz von Gesundheitseffekten aus mehreren

Studien mit einzubeziehen. Dies ist jedoch Gegenstand der vorgeschalteten Nutzenbewertung und nicht des spezifischen Methodenpapiers zur Kosten-Nutzen-Bewertung.

Die Autoren schließen, dass es möglich ist, Handlungsempfehlungen für Höchstbeträge innerhalb eines Indikationsbereichs basierend auf Informationen hinsichtlich des Nutzens und der Kosten der bestehenden Interventionen in diesem Bereich abzugeben. Die Zuverlässigkeit dieser Handlungsempfehlung wird von der Anzahl der verfügbaren Interventionen in dieser Indikation abhängen. Die Autoren betonen, dass die Methode als Beratungsinstrument zur Abwägung von Höchstbeträgen in Deutschland dienen sollte. Es wird keine Entscheidungsregel erzeugt.

Vorgehen: Diese zusätzlichen Erklärungen wurden zusammen mit einer neuen Abbildung in den Text eingefügt, um das Konzept zu illustrieren. Die technischen Anhänge werden weitere Details zur Bewertung von Unsicherheit enthalten.

3 Der Fokus auf einen Indikationsbereich ist unangemessen

Zusammenfassung: Viele Stellungnahmen bezogen sich darauf, dass Vergleiche innerhalb eines Indikationsbereichs nicht im Einklang mit den gesetzlichen Anforderungen an das IQWiG sowie mit den internationalen Standards der Gesundheitsökonomie stehen. Es wurde behauptet, dass indikationsübergreifende Vergleiche nicht nur bedeutsam, sondern notwendig für fundierte Entscheidungen sind und dass deren Fehlen zu schlechter Ressourcenallokation und einem ungerechten und ineffizienten System führt. Zusätzlich wurde die Tatsache, dass eine Intervention in mehreren Indikationsbereichen zum Einsatz kommen kann, als unüberwindliches Problem empfunden, da dieses unterschiedliche Höchstbeträge für das gleiche Produkt, eingesetzt in verschiedenen Indikationen, implizieren würde.

Antwort: Die Entscheidung, sich mit der Methode auf Evaluationen innerhalb eines Indikationsbereichs zu konzentrieren und nicht auf die weiter gefasste Frage hinsichtlich Investitionsprioritäten über das System hinweg, basiert darauf, wie das IQWiG § 35b des Sozialgesetzbuches versteht (SGB V) und auf der gesetzlichen Praxis der Beauftragung des IQWiG durch den Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA). Diese Gesetzesinterpretation wird vom Bundesgesundheitsministerium in seiner Funktion als rechtliche Oberaufsicht unterstützt und ist kürzlich publiziert worden [2].

Erstens sollte angemerkt werden, dass weder eine der HTA-Agenturen, auf die gewöhnlich Bezug genommen wird, explizit indikationsübergreifende Vergleiche vornimmt, noch die häufig zitierten methodischen Leitlinien Methoden zur Durchführung dieser expliziten Vergleiche vorschlagen. Die tatsächlichen Opportunitätskosten werden einfach ignoriert, und stattdessen wird ein impliziter Vergleich zu einem Schwellenwert vorgenommen. Somit führen die Methoden, die als internationaler Standard angeführt werden, auch alle Bewertungen innerhalb eines Indikationsbereichs durch und überlassen die indikationsübergreifenden Vergleiche den Entscheidungsträgern. Es bleibt auch ungeklärt, wie diese Vergleiche vorgenommen werden, der Schwellenwert abgeleitet und die Zumutbarkeit bewertet wird. Ob dieser implizite Ansatz zu gerechten Entscheidungen hinsichtlich der Ressourcenallokation führt oder auch zu Beschlüssen, die mit den festgelegten Zielen im Einklang stehen, wurde ebenfalls infrage gestellt.

Es wurden Methoden vorgeschlagen, die explizit eine indikationsübergreifende Priorisierung adressieren [3]. „Programme Budgeting and Marginal Analysis“ (PBMA) ist ein Ansatz, der herhalten musste für explizite Priorisierung, die vollständig im Einklang mit den ökonomischen Grundlagen ist [4]. Obwohl mehrfach angewendet [5], würden selbst die Befürworter dieses Ansatzes kaum behaupten, dass es sich um einen internationalen Standard handelt.

Die Möglichkeit, dass eine spezifische Intervention in mehreren Indikationsbereichen angemessen sein kann, wurde in den Methoden eingeräumt. Dies ist natürlich keine Besonderheit an diesen vorgeschlagenen Methoden. Diese Tatsache trifft auch auf andere Ansätze zu, weil sie nicht von der Evaluationstechnik abhängt, sondern mit dem Potenzial einer Intervention, verschiedenen Zwecken zu dienen, verbunden ist. Bei Evaluationen, die auf Kosten-Nutzen-Verhältnisse abzielen, impliziert dies, dass eine Intervention mehrere inkrementelle Kosten-Nutzen-Verhältnisse mit unterschiedlichen Implikationen für Erstattungsentscheidungen haben kann. In der Tat ist dieser Aspekt ein Routineaspekt von Evaluationen, und viel Aufmerksamkeit wird darauf verwendet, um Subgruppen / Indikationen zu finden, in denen das Produkt zum gewünschten Preis „kosten-effektiv“ ist. Die Konsequenz der für Deutschland vorgeschlagenen Methodik ist, dass eine gegebene Intervention Teil verschiedener Effizienz-Grafiken sein kann und dass diese verschiedene Implikationen für zumutbare Höchstbeträge haben können. In diesem Fall würden diese Informationen den Entscheidungsträgern präsentiert werden, damit diese zur Festlegung eines Höchstbetrags (wenn ein einziger erforderlich ist) gelangen können oder zu anderen Beschlüssen, die die unterschiedlichen Indikationen und Subgruppen mit berücksichtigen.

Falls Fragen auftauchen, zu deren Beantwortung die Entscheidungsträger indikationsübergreifende Effizienzmaße benötigen, sieht die vorgeschlagene Methode dies durch krankheitsunspezifische Maße für den gesundheitlichen Nutzen auf der vertikalen Achse vor (siehe auch Antwort 2).

4 Die vorgeschlagene Perspektive ist unangemessen

Zusammenfassung: Viele Stellungnahmen bezogen sich auf die Perspektive der Evaluation. Obwohl in den Empfehlungen keine Einheitlichkeit herrschte, war die häufigste Kritik, dass die „gesellschaftliche“ Perspektive eingenommen werden sollte.

Antwort: Die in den Methoden vorgeschlagene Perspektive stammt direkt aus dem gesetzlichen Mandat, wie es das IQWiG versteht: die der Versichertengemeinschaft der gesetzlichen Krankenversicherung. Dieses wurde als die Perspektive der Krankenversicherungen selber fehlinterpretiert, und dadurch wurde impliziert, dass nur die Kosten, die diese erstatten, berücksichtigt werden sollen. Offensichtlich ist dies nicht der Fall. Stattdessen beinhaltet der Ansatz, dass alle für die Versicherten relevanten ökonomischen Aspekte mitberücksichtigt werden sollten. Hierdurch ist die Einbeziehung aller Kosten angemessen, die von anderen Sozialversicherungsträgern erstattet werden, oder auch Out-of-Pocket-Ausgaben (ob erstattet oder nicht), wenn diese in einem spezifischen Indikationsbereich bedeutsam sind.

Eine Erweiterung dieser Aussage, um standardmäßig in allen ökonomischen Evaluationen alle möglichen Auswirkungen auf andere Gebiete des Gesundheitssystems (z. B. Forschung und Lehre) und sogar auf andere Wirtschaftszweige (z. B. Verkehrswesen, Energieversorgung und Landwirtschaft) mit einzubeziehen, wird als nicht durchführbar erachtet, auch wenn diese für die Versichertengemeinschaft von Bedeutung sind. Relevante Aspekte derartiger Auswirkungen können in Sensitivitätsanalysen adressiert werden, sollten spezifische Forschungsfragen dies erforderlich machen.

Die Folgen einer Krankheit oder ihrer Behandlung auf die Produktivität der betroffenen Versicherten kann eine wichtige Komponente der Evaluation sein. Aufgrund der eingenommenen Perspektive erscheint es als nicht empfehlenswert, diese Faktoren in die Kostenkalkulation mit einzubeziehen. Stattdessen sollten Aspekte wie z. B. Produktivitätsverlust abgeschätzt und den Entscheidungsträgern getrennt von der Evaluation berichtet werden.

Vorgehen: Weitere Erklärungen zu den Implikationen der Versichertenperspektive werden in den Methoden ergänzt. Es wird erläutert, dass dies auf eine „quasi gesellschaftliche“ Perspektive der Versichertengemeinschaft der GKV hinausläuft.

5 Die Bewertung des Nutzens und der Notwendigkeit einer Kardinalskala ist unzureichend erklärt

Zusammenfassung: Die Abschätzung des Nutzens und dessen Bewertung war in vielen Stellungnahmen Thema. Es wurden Bedenken geäußert hinsichtlich der Aggregation von multiplen nützlichen und schädlichen Effekten und dass die Zustimmung zum QALY als akzeptierte Methode hierfür fehlte. Fragen wurden aufgeworfen, wie eine Kardinalskala festgelegt werden soll. Es wurde angemerkt, dass in jedem Fall der Nutzen im gleichen Zeithorizont quantifiziert werden muss wie die Kosten. Schließlich wurde in Stellungnahmen angesprochen, dass die Nutzenbewertung des IQWiG nicht die Basis für ökonomische Evaluationen darstellen kann, weil diese die Arten der Evidenz beschränkt, die berücksichtigt werden.

Antwort: Es besteht kein Zweifel, dass die Bewertung von multiplen gänzlich unvereinbaren Effekten schwierig ist. Verschiedene Aspekte können für verschiedene Personen eine unterschiedliche Bedeutung haben. Es gibt keine Standardmethode oder ein Standardinstrument zur Quantifizierung und Aggregation dieser Nutzenaspekte, welche die gesellschaftliche Beurteilung des Werts dieser Effekte widerspiegelt. In den Methoden werden die Bedingungen, welche für das Nutzenmaß erfüllt sein müssen, aufgeführt, aber es wird kein spezifisches Instrument empfohlen, da die Autoren diese Auswahl für unangemessen erachten und es für das Beste hielten, dieses den geeigneten klinischen und methodischen Experten in jedem Indikationsbereich unter Betrachtung der spezifischen Forschungsfrage zu überlassen.

Da die ökonomische Bewertung von der Priorisierung in Deutschland getrennt gehalten wird, besteht kein zwingender Bedarf an einem universellen Maß, das alle möglichen Gesundheitseffekte umfasst. Das QALY könnte als ein zusammenfassendes Maß für Nutzen innerhalb eines Indikationsbereichs dienen, und dieses hätte auch viele Vorteile, da bereits grundlegende Arbeit in den Versuch investiert wurde, allgemeingültige QALY-Schätzer für verschiedene Indikationen bereitzustellen. Es gibt sogar innerhalb eines Indikationsbereichs Schwierigkeiten mit deren Anwendung.

Für einige stellt sich ein Problem mit dem QALY, dass dieses mit dem Gedanken verbunden sei, dass die Lebensqualität und Zeitdauer gleich gewichtet in das QALY einfließen, sodass

ein Outcome von beispielsweise 5 Jahren bei voller Lebensqualität als äquivalent zu 10 Jahren bei halber Lebensqualität angesehen wird. Viele Kliniker und Entscheidungsträger empfinden diese Annahme von Äquivalenz zwischen diesen Outcomes, die von ziemlich unterschiedlicher Natur sind, nicht als richtig, obwohl sie für einige auch attraktiv erscheint- und in einer der Methoden als fester Bestandteil zur Ermittlung der entsprechenden Zahlenwerte zementiert wurde.

Ein weiteres Problem besteht darin, dass unterschiedliche Techniken für die Wertung von Gesundheitszuständen, und daher auch für die Bewertung der QALYs, unterschiedliche Ergebnisse liefern. Es gibt keinen internationalen Standard für die bevorzugte Technik [1].

Hierdurch stellt das QALY nicht notwendigerweise eine ideale Wahl für ein zusammenfassendes Maß innerhalb eines Indikationsgebiets dar. Bevor es im deutschen Kontext eingesetzt werden kann, benötigt das QALY Konzept eine Revision und noch ausstehende Probleme sollten gelöst werden. Das IQWiG beabsichtigt daher ein methodisches Forschungsprojekt in Auftrag zu geben, um diese Probleme zu untersuchen und im Kontext des deutschen Gesundheitssystems zu lösen. Vor der Lösung dieser Probleme und befreit von der Notwendigkeit, ein universelles Nutzenmaß zu etablieren, können Kliniker und andere Experten Maße entwerfen, testen und implementieren, die spezifisch für die Gesundheitseffekte sind, die innerhalb eines Indikationsbereichs auftreten und den Nutzen geeignet widerspiegeln. Zum Beispiel macht es in einem rein symptomatischen Bereich, in dem weder der Gesundheitszustand noch deren Behandlung die Mortalität beeinflusst, keinen Sinn den Nutzen in qualitätsadjustiertem Überleben zu quantifizieren. Es können bessere Maße, die angemessener die spezifischen Gesundheitseffekte in diesem Indikationsbereich abbilden, entwickelt werden (und bereits für viele Indikationsbereiche verfügbar sein).

Für alle Akteure ist es wichtig, dass die Messinstrumente des Nutzens, die innerhalb eines Indikationsbereichs angewandt werden, im Vorfeld jeder Evaluation festgelegt werden.

6 Der vorgeschlagene Ansatz ist nicht machbar

Wenn eine akzeptable, international gebräuchliche Methode für diese Art Evaluation von Gesundheitstechnologien, wie sie für deutsche Entscheidungsträger benötigt wird, bereits zur Verfügung stünde, wäre die Methodenentwicklung nicht beauftragt worden. Dennoch stellt der vorgeschlagene Ansatz, der auf international anerkannten Prinzipien und Konzepten basiert, keine neuen Herausforderungen, die bei anderen vergleichbaren Evaluationsmethoden nicht auch aufgetreten wären. Die Quantifizierung der klinischen und ökonomischen Auswirkung der relevanten Interventionen ist unabhängig davon erforderlich, wie diese Information von Entscheidungsträgern interpretiert und Entscheidungsträgern als Handlungsempfehlung dargeboten wird. Dementsprechend ist davon auszugehen, dass der Ansatz der Effizienzgrenze machbar ist, auch wenn er bisher noch nicht weitverbreitet von einer Evaluationsagentur zur Bewertung von Gesundheitstechnologien eingesetzt wurde.

Literaturverzeichnis

1. ISPOR. Building a Pragmatic Road: An ISPOR Development Workshop on Moving the QALY Forward [Online]. 2008 [Zugriff am 08.10.2008]. URL: <http://www.ispor.org/meetings/MeetingsInvited.aspx>.
2. Bundesministerium für Gesundheit. Stellungnahme zur Methodik der Kosten-Nutzen-Bewertung von Arzneimitteln [Online]. 06.08.2008 [Zugriff am 16.09.2008]. URL: http://www.bmg.bund.de/cln_117/mn_1168258/SharedDocs/Standardartikel/DE/AZ/K/Glossar-Kosten-Nutzen-Bewertung/Stellungnahme.html.
3. Mitton C, Donaldson C. Tools of the trade: a comparative analysis of approaches to priority setting in healthcare. Health Serv Manage Res 2003; 16(2): 96-105.
4. Donaldson C, Farrar S. Needs assessment: developing an economic approach. Health Policy 1993; 25(1-2): 95-108.
5. Mitton C, Donaldson C. Twenty-five years of programme budgeting and marginal analysis in the health sector: 1974-1999. J Health Serv Res Policy 2001; 6(4): 239-248.