

Kurzfassung

Im Rahmen dieses Generalauftrags wurde untersucht, ob sich BARMER-Versorgungsdaten nutzen lassen, um die Anzahl der Patientinnen und Patienten der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) zu bestimmen, für die in ausgewählten Indikationen eine Therapie mit bestimmten Wirkstoffen infrage kommt.

Fragestellung

Die frühe Nutzenbewertung neuer Arzneimittel nach § 35a SGB V erfordert auch die Beurteilung der in den Dossiers der pharmazeutischen Unternehmer (pU) eingereichten Unterlagen zur Anzahl der Patientinnen und Patienten, für die ein Wirkstoff infrage kommt (GKV-Zielpopulation).

Das Ziel dieses Generalauftrags ist die Prüfung der Validität der Bestimmung der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation auf der Basis von BARMER-Versorgungsdaten sowie der Nutzbarkeit der Daten.

Daraus ergeben sich folgende 3 Teilziele:

- a) methodische Herleitung und Schätzung der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation (auf Grundlage der Prävalenz und ggf. Inzidenz) für ausgewählte Indikationsgebiete, für die in der Vergangenheit durch den pU Dossiers zu neuen Arzneimitteln im Rahmen des AMNOG-Verfahrens beim G-BA eingereicht wurden
- b) Vergleich der im Rahmen der eigenen Analyse gewonnenen Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation mit den entsprechenden Angaben in den Dossiers
- c) Prüfung der Nutzbarkeit der Daten für die Bestimmung der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation mithilfe von Versorgungsdaten und Ermittlung des Arbeitsaufwands für die Auswertungen

Methoden

In Deutschland fließen Daten zu allen von den gesetzlich krankenversicherten Personen während eines Jahres in Anspruch genommenen Regelleistungen der GKV bei den jeweils zuständigen gesetzlichen Krankenkassen zusammen. Diese enthalten somit Diagnose- und alle Leistungsdaten und Angaben zu eingelösten Verordnungen von Arznei- sowie von Heil- und Hilfsmitteln.

Die BARMER stellt Wissenschaftlerinnen und Wissenschaftlern auf Antrag den Zugang zu einem pseudonymisierten Datenbestand (Wissenschafts-Data-Warehouse [WDWH]) von ca. 8,6 Millionen Versicherten dieses Kassenverbands im Rahmen eines Terminalzugriffs bereit. Das WDWH bietet damit die Möglichkeit, die jeweils über ein Versichertenpseudonym miteinander verknüpften Daten zur ambulanten sowie stationären Versorgung, zu Arzneimitteln, Heil- und Hilfsmitteln, zur Rehabilitation, Pflege, Arbeitsunfähigkeit / Lohnersatzleistungen sowie zu pseudonymisierten Versichertendaten quer- und längsschnittlich auszuwerten.

Bei der Datenauswertung ging es darum, die Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation mit ausgewählten Erkrankungen in 3 Leistungsjahren zu bestimmen. Dafür wurde zunächst die Zielpopulation der jeweiligen Indikation festgelegt und anschließend wurden daraus die Patientencharakteristika abgeleitet. Bei der Auswahl der Indikationen sowie der Definition der Zielpopulation war entscheidend, inwiefern sich die Patientencharakteristika in der Datenauswertung operationalisieren ließen. Von besonderem Interesse war außerdem der Umfang bestimmter Subgruppen von Patientinnen und Patienten, die aufgrund spezifischer Verordnungen Gegenstand von Erörterungen im Rahmen der AMNOG-Verfahren des G-BA waren.

Bei der Datenauswertung wurde zunächst die Prävalenz der jeweiligen zugrunde liegenden Erkrankung berechnet und entsprechend der Verteilung nach Alter und Geschlecht auf die GKV-Bevölkerung in Deutschland standardisiert. Datengrundlage bildete der zum Zeitpunkt der Datenauswertung aktuellste Datenstand (Daten des Jahres 2017) sowie die beiden vorherigen Jahre 2015 und 2016.

Es wurden 3 verschiedene Indikationen ausgewählt:

- chronisch obstruktive Lungenerkrankung (COPD)
- pulmonale arterielle Hypertonie (PAH)
- Asthma bronchiale

Zum einen wurden Indikationsgebiete selektiert, in denen in den Dossiers bereits die Schätzung der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation auf Basis von Routinedatenanalysen erfolgte (gewähltes Beispiel: PAH). Zum anderen wurden Indikationsgebiete ausgewählt, in denen die relevanten Patientengruppen auf Basis der in den Routinedaten enthaltenen Informationen voneinander abgrenzbar sind (gewähltes Beispiel: Asthma; hierbei handelt es sich um Patientengruppen mit bestimmter medikamentöser Therapie). Schließlich wurde ein Indikationsgebiet herausgegriffen, bei dem die bisherigen Angaben zu den Patientenzahlen auf unsicheren Datenquellen beruhten und in dem in der nächsten Zeit weitere Dossiers zu erwarten sind (gewähltes Beispiel: COPD).

Nachdem für die ausgewählten Indikationen die Schätzungen zur Prävalenz in den 3 Betrachtungsjahren sowie darauf basierend zur Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation vorgenommen worden sind, wurden diese mit den Angaben in den Dossiers zu den jeweiligen Indikationsgebieten verglichen. Für diesen Vergleich wurden alle Dossiers aus dem jeweiligen Indikationsgebiet berücksichtigt, bei denen im Zeitraum von Anfang 2011 bis Ende 2018 die Bewertungen abgeschlossen wurden.

Das Arbeitspapier wurde auf Grundlage der Auswertungsergebnisse und deren Vergleich zu den Angaben in Dossiers der genannten Indikationsgebiete erstellt. Die Einschätzung zur Nutzbarkeit der verwendeten Datenbasis für die Bestimmung der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation erfolgte vor dem Hintergrund des Arbeitsaufwands pro

Mitarbeiter und des einzuplanenden Zeithorizonts für die Nutzenbewertung im Rahmen des AMNOG-Verfahrens. Des Weiteren wurde analysiert, ob die Nutzung der Datenbasis in Bezug auf weitere für die Dossierbewertung relevante Indikationen sinnvoll erscheint.

Ergebnisse

Für die Indikation COPD wurde auf Basis der BARMER-Versorgungsdaten eine Prävalenz von 3,56 % im Jahr 2015 bzw. von 4,13 % in den Jahren 2016 und 2017 berechnet. Dies entspricht hochgerechnet jeweils 2 199 158 (2015), 2 574 279 (2016) sowie 2 603 207 (2017) erwachsenen Patientinnen und Patienten mit COPD in der GKV. Diese Ergebnisse zur Prävalenz weichen stark von den entsprechenden Ergebnissen ab, die in den Dossiers des gewählten Betrachtungszeitraums in dieser Indikation berichtet wurden. Hierin findet sich basierend auf der deutschen Stichprobe der BOLD-Studie eine Prävalenz von 13,2 %. Auch bei Einschränkung auf Versicherte im Alter von ≥ 40 Jahren in Anlehnung an die Einschlusskriterien der BOLD-Studie ergab sich eine im Vergleich deutlich niedrigere Prävalenz von 5,17 % im Jahr 2015, 6,04 % im Jahr 2016 sowie 6,09 % im Jahr 2017. Des Weiteren wurde auf Basis der BARMER-Versorgungsdaten der Anteil der Patientinnen und Patienten mit ≥ 2 Exazerbationen bei den Schweregraden III und IV ermittelt. Die Ergebnisse (beispielsweise im Jahr 2015: 19,85 % mit COPD-Schweregrad III und 21,87 % mit COPD-Schweregrad IV) weichen im Vergleich zu einer in den entsprechenden Dossiers häufig zitierten Studie ebenfalls deutlich ab. Bei dieser Studie handelt es sich um die Ergebnisse aus dem Disease-Management-Programm COPD im Jahr 2010 in der Region Nordrhein, in welcher sich ein Anteil der Patientinnen und Patienten mit einer ICS-Behandlung in COPD-Schweregrad III von 55,4 % und in COPD-Schweregrad IV von 63,8 % ergab. Diese Studie wurde in Dossiers zitiert, um über das Vorliegen einer ICS-Behandlung den Anteil der Patientinnen und Patienten mit ≥ 2 Exazerbationen bei den Schweregraden III und IV zu operationalisieren.

Für die Indikation PAH betrug die Prävalenz 1,25 von 10 000 im Jahr 2015 und 1,30 von 10 000 im Jahr 2016 sowie 1,57 von 10 000 im Jahr 2017. Hierbei waren Patientinnen und Patienten mit einer Weltgesundheitsorganisation(WHO)-Funktionsklasse II bis III eingeschlossen. Dies entspricht hochgerechnet 7723 (2015), 8099 (2016) und 9873 (2017) erwachsenen Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation. Diese Ergebnisse liegen in ähnlicher Größenordnung wie die Obergrenzen der Patientenzahlen in den betrachteten Dossiers.

Für die Indikation Asthma bronchiale wurde auf Basis der eigenen Analysen eine Prävalenz von 5,02 % im Jahr 2015, 5,75 % im Jahr 2016 und 5,79 % im Jahr 2017 berechnet. Dies entspricht hochgerechnet jeweils 3 103 251 (2015), 3 588 181 (2016) und 3 645 469 (2017) erwachsenen Patientinnen und Patienten mit Asthma bronchiale in der GKV. Diese Ergebnisse lagen in ähnlicher Größenordnung wie die Angaben in den betrachteten Dossiers. Für die Immunglobulin-E-Teilpopulation wurde im Rahmen dieses Arbeitspapiers für die Jahre 2015, 2016 und 2017 eine Anzahl von jeweils 2922, 3136 und 3757 erwachsenen Patientinnen und Patienten in der GKV bestimmt. Insgesamt lagen diese Ergebnisse innerhalb der im Dossier zu

Mepolizumab angegebenen Spanne für die Patientenzahl sowie in ähnlicher Größenordnung wie die im Dossier zu Reslizumab angegebene Obergrenze.

Die Nutzbarkeit der BARMER-Versorgungsdaten hängt von verschiedenen Faktoren ab. Ein wichtiger Aspekt dabei ist, inwieweit sich eine Erkrankung über einen eindeutigen Diagnosecode erfassen lässt, wobei ggf. zur Diagnosevalidierung zusätzliche Verordnungsdaten hinzugezogen werden müssten. Angaben zu einigen weiteren Kriterien (z. B. Eosinophilie), die notwendig waren, um die Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation zu ermitteln, ließen sich nicht anhand von Routinedaten gewinnen. Der Arbeitsaufwand im vorliegenden Projekt fiel bei dieser erstmaligen Verwendung der betrachteten Datenbasis vergleichsweise hoch aus. Eine Standardisierung der Auswertungsverfahren könnte eine Bearbeitung in zukünftigen Anwendungsgebieten beschleunigen.

Fazit

Die BARMER-Versorgungsdaten stellen eine mögliche Quelle zur Plausibilisierung von Angaben zur Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation eines zu bewertenden Arzneimittels im Rahmen des AMNOG-Verfahrens dar.

Ihre Stärke liegt darin, dass auf dieser Grundlage in Ermangelung von oder als Ergänzung zu Angaben in der Literatur transparente Herleitungen zur Anzahl der für die Anwendung eines Wirkstoffes infrage kommenden Versicherten bzw. zu Teilschritten der Berechnung der Patientenzahlen vorgenommen werden können. Allerdings wird die Aussagekraft dadurch beschränkt, dass in diesem Datensatz allein abrechnungsbegründende Umstände und abrechnungsrelevante Leistungen repräsentiert sind.

Der vergleichsweise hohe Aufwand bei dieser erstmaligen Verwendung der Datenbasis könnte sich im Fall einer erneuten Nutzung aufgrund spezifischer Vorerfahrungen im Umgang mit der Datenauswertung reduzieren. Außerdem erscheinen weitere Anträge zur Nutzung der BARMER-Versorgungsdaten unabhängig von laufenden Bewertungen denkbar, um Untersuchungen zur Patientenzahl für ausgewählte Indikationen und zur Unterstützung der Kostenbestimmungen von Gesundheitsleistungen vorzunehmen. Auf diese Weise könnten die Daten zumindest im Hinblick auf vielfach zu betrachtende Anwendungsgebiete im AMNOG-Verfahren zur Plausibilisierung beitragen.