

**Autologe  
Stammzelltransplantation  
bei der Indikation  
Mammakarzinom**

**Dokumentation und Würdigung der  
Stellungnahmen zum Berichtsplan**

Auftrag N05-03E  
Version 1.0  
Stand: 08.10.2007

# Impressum

**Herausgeber:**

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen

**Thema:**

Autologe Stammzelltransplantation bei der Indikation Mammakarzinom

**Auftraggeber:**

Gemeinsamer Bundesausschuss

**Datum des Auftrags:**

15.03.2005

**Interne Auftragsnummer:**

N05-03E

**Anschrift des Herausgebers:**

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen  
Dillenburger Str. 27  
51105 Köln

Tel: 0221/35685-0  
Fax: 0221/35685-1  
Berichte@iqwig.de  
www.iqwig.de

Diese Dokumentation und Würdigung der Stellungnahmen zum Berichtsplan „N05-03E: Autologe Stammzelltransplantation bei der Indikation Mammakarzinom“ wird gleichzeitig mit dem Berichtsplan Version 1.0 veröffentlicht. Der Berichtsplan Version 1.0 „N05-03E: Autologe Stammzelltransplantation bei der Indikation Mammakarzinom“ ist publiziert unter [www.iqwig.de](http://www.iqwig.de).

# Inhaltsverzeichnis

|          |   |          |
|----------|---|----------|
| <b>1</b> | <b>Dokumentation des Stellungnahmeprozesses .....</b>                           | <b>1</b> |
| <b>2</b> | <b>Würdigung der Stellungnahmen.....</b>  | <b>2</b> |
| 2.1      | Unvollständige Darlegung der Auftragsinformationen .....                        | 2        |
| 2.2      | Unklare Recherche und Informationsbeschaffung, Zeitrahmen der<br>Recherche..... | 2        |
| 2.3      | Unklare Ein- und Ausschlusskriterien .....                                      | 3        |
| 2.4      | Fehlende Berücksichtigung vorhandener Evidenz.....                              | 3        |
| 2.5      | Potenzieller Missbrauch öffentlicher Mittel .....                               | 4        |
| <b>3</b> | <b>Literaturverzeichnis.....</b>  | <b>5</b> |
| <b>4</b> | <b>Dokumentation der Stellungnahmen.....</b>                                    | <b>6</b> |
| 4.1      | Darlegung potenzieller Interessenkonflikte der Stellungnehmenden .....          | 6        |
| 4.2      | Stellungnahmen von Fachgesellschaften, Firmen und Vereinigungen .....           | 9        |
| 4.2.1    | Verband Forschender Arzneimittelhersteller (VFA).....                           | 10       |

## **1 Dokumentation des Stellungnahmeprozesses**

Am 14.08.2007 wurde der vorläufige Berichtsplan „N05-03E: Autologe Stammzelltransplantation bei der Indikation Mammakarzinom“ in der Version Nr. 0.1 vom 06.08.2007 veröffentlicht. Zu diesem Berichtsplan konnten bis zum 11.09.2007 Stellungnahmen eingereicht werden.

Insgesamt wurde 1 Stellungnahme abgegeben, die in Abschnitt 4 dokumentiert ist. Potenzielle Interessenkonflikte, die von den Stellungnehmenden offengelegt wurden, sind ebenfalls in Abschnitt 4 dargelegt. Die Würdigung der Stellungnahmen findet sich in Abschnitt 2 des vorliegenden Dokuments.

Aus der eingegangenen Stellungnahme ergaben sich keine Änderungen des (vorläufigen) Berichtsplans.

## **2 Würdigung der Stellungnahmen**

Die Stellungnahme des Verbands Forschender Arzneimittelhersteller bezieht sich sowohl auf konkrete methodische Punkte des vorliegenden vorläufigen Berichtsplans als auch auf allgemeine Verfahrensfragen, auf die exemplarisch eingegangen wird. Im Einzelnen wurden folgende Gesichtspunkte angesprochen:

### **2.1 Unvollständige Darlegung der Auftragsinformationen**

*Es wird kritisiert, dass sowohl Informationen zur Konkretisierung des Auftrags als auch die beim Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA) eingegangenen Stellungnahmen zum Beratungsantrag fehlen.*

Hierzu ist zunächst anzumerken, dass dieser Kritikpunkt allgemeine Verfahrensfragen des Instituts und nicht direkt methodische Aspekte des vorliegenden Berichtsplans betrifft. Informationen zum Auftrag finden sich in Abschnitt 1 und 3 des vorläufigen Berichtsplans. Sowohl der zugrunde liegende Antrag zum Gesamtauftrag zur Bewertung der Stammzelltransplantation, der Basis des Auftrags ist, als auch die zum Beratungsantrag eingegangenen Stellungnahmen sind Unterlagen des G-BA, die vom IQWiG vertraulich zu behandeln sind und damit nicht veröffentlicht werden können. Das Gleiche gilt für Unterlagen, welche die Konkretisierung des Auftrags betreffen. Grundlage eines Berichtsplans ist jedoch die Konkretisierung des Auftrags mit dem G-BA, sodass sich diese Aspekte im Berichtsplan wiederfinden.

### **2.2 Unklare Recherche und Informationsbeschaffung, Zeitrahmen der Recherche**

*Die Stellungnehmenden gehen davon aus, dass bereits eine systematische Literaturrecherche vor der Berichtsplanerstellung durchgeführt wurde, und vermissen dazu konkrete Angaben.*

Eine systematische Recherche wurde nicht durchgeführt. Diese ist, wie auch im Berichtsplan dargelegt, Gegenstand des zu erstellenden Vorberichts. Um einen Berichtsplan erstellen zu können, ist es jedoch notwendig, eine nicht systematische Vorabrecherche durchzuführen. Damit soll u. a. ein Überblick über bereits existierende HTA-Berichte und systematische Übersichtsarbeiten gewonnen werden, aus denen sich wiederum grob ableiten lässt, welche Studien in welcher Evidenzklasse zu der zu bearbeitenden Fragestellung vorliegen. Entsprechende Informationen fließen selbstverständlich in den Berichtsplan ein. Ein solches Vorgehen ist eine Standardvorgehensweise bei einer wissenschaftlichen Projektplanung – nicht nur im Bereich der evidenzbasierten Medizin – und bedarf keiner gesonderten Erwähnung. Die zukünftige systematische Recherche wird ohne zeitliche Einschränkung erfolgen. Damit entfällt die Angabe eines Zeitrahmens in Abschnitt 4.2 des Berichtsplans.

### **2.3 Unklare Ein- und Ausschlusskriterien**

*Nach Ansicht der Stellungnehmenden ist der Grenzwert für das Ausschlusskriterium A1, nach dem Studien mit weniger als 80 % Mammakarzinompatientinnen, in denen keine Subgruppenanalyse für dieses Patientenkollektiv durchgeführt wurde, ausgeschlossen werden sollen, willkürlich gewählt.*

Erfahrungsgemäß beziehen viele Studien im nichtmedikamentösen Bereich nicht ausschließlich die zu untersuchende Patientenpopulation ein. Damit stellt sich die Frage der Übertragbarkeit der Ergebnisse von Studien bei Patienten mit z. B. anderen Erkrankungen auf die zu untersuchende Patientenpopulation. Die Festlegung der Grenze auf 80 % dient gerade nicht dazu Evidenz auszuschließen, sondern es ist im Gegenteil intendiert, den zu betrachtenden Studienpool zu erweitern. Ohne Subgruppenanalyse bzw. den Ausschluss einer relevanten Interaktion zwischen Therapieeffekt und den betrachteten Patientenpopulationen scheint ein Verhältnis von 4:1 von zu untersuchender und nicht zu untersuchender Patientenpopulation noch belastbare Ergebnisse für die zu untersuchende Patientenpopulation zu liefern.

*Weiterhin wurde in der Stellungnahme die Anwendung des Ausschlusskriteriums A3 kritisiert, nach dem nur Studien, die im Volltext vorliegen, bewertet werden.*

Diese Kritik betrifft allgemeine Verfahrensfragen. Das Kriterium wurde konform mit den Methoden des IQWiG gewählt (s. a. Methoden 2.0 auf <http://www.iqwig.de>). Wie in Abschnitt 4.2 des Berichtsplans dargestellt, wird auch nach Studien, die noch nicht abgeschlossen oder im Volltext publiziert wurden, recherchiert. Werden solche identifiziert, so werden die die Studien durchführenden Organisationen um Daten gemäß dem CONSORT-Statement [1] gebeten, die eine adäquate und valide Bewertung der betreffenden Studien zulassen.

### **2.4 Fehlende Berücksichtigung vorhandener Evidenz**

*Kritisiert wird die Einschränkung der Bewertung auf randomisierte kontrollierte Studien (RCTs).*

In der Vorabrecherche (s. o.) wurden 2 systematische Reviews identifiziert, in denen die autologe Stammzelltransplantation bei Hochrisiko-Mammakarzinompatientinnen mit bzw. ohne Metastasierung bewertet wurden [2,3]. Aus diesen Arbeiten geht hervor, dass eine nicht geringe Anzahl von RCTs für beide Patientengruppen für die zu bearbeitenden Fragestellungen vorliegt. Auch in diesen Übersichtsarbeiten wurden ausschließlich RCTs in die Bewertung eingeschlossen. In Übereinstimmung mit der internationalen Vorgehensweise zur Bewertung dieses Therapieverfahrens, der Verfahrensordnung des Gemeinsamen Bundesausschusses (s. <http://www.g-ba.de>) und im Einklang mit den Methoden des IQWiG wird deshalb auf eine Einbeziehung von Studien niedrigerer Evidenzklassen verzichtet.

## 2.5 Potenzieller Missbrauch öffentlicher Mittel

*Die Stellungnehmenden stellen infrage, ob ein Therapieverfahren, das nur noch sehr selten durchgeführt wird, vom IQWiG bewertet werden sollte.*

Zunächst ist festzustellen, dass das IQWiG vom G-BA mit der Bewertung des Verfahrens beauftragt wurde und die Nutzenbewertung nicht auf einer Initiative des IQWiG beruht. Darüber hinaus sprechen 2 Punkte für eine Bewertung der autologen Stammzelltransplantation beim Mammakarzinom:

1. Auch wenn im Berichtsplan dargestellt wurde, dass nach kontinuierlicher Abnahme in den vergangenen 10 Jahren 2006 keine autologe Transplantation mehr vom Deutschen Register für Stammzelltransplantationen registriert wurde [4], so lässt sich daraus nicht ableiten, dass dieses Verfahren grundsätzlich nicht mehr eingesetzt wird, da Register über keine vollständige Erfassungsquote verfügen.
2. Wie die Vorabrecherche (s. o.) ergeben hat, werden immer noch Langzeitdaten von Studien, die bereits in den 90er Jahren begonnen wurden, publiziert. Mit der Bewertung dieser Daten kann das IQWiG dem G-BA eine solide Grundlage für die Entscheidung liefern, ob das Verfahren weiterhin in der Versorgung verbleiben oder ggf. aus dem Gegenstandskatalog der gesetzlichen Krankenversicherung ausgeschlossen werden soll.

Grundsätzlich bietet eine Bewertung eines Therapieverfahrens zu einem Zeitpunkt, in dem das Verfahren nicht im Fokus der Versorgung steht, eine Möglichkeit, eine Nutzenbewertung frei von Zwängen, die sich aus der Verbreitung in der Versorgung und durch Präferenzen von Leistungserbringern bzw. Patienten ergeben, durchzuführen.

Zusammengefasst ergeben sich aus der Stellungnahme keine Änderungen zum vorläufigen Berichtsplan.



### 3 Literaturverzeichnis

1. Altman DG, Schulz KF, Moher D, Egger M, Davidoff F, Elbourne D et al. The revised CONSORT statement for reporting randomized trials: explanation and elaboration. *Ann Intern Med* 2001; 134(8): 663-694.
2. Farquhar C, Marjoribanks J, Bassler R, Hetrick S, Lethaby A. High dose chemotherapy and autologous bone marrow or stem cell transplantation versus conventional chemotherapy for women with metastatic breast cancer [Cochrane Review]. *Cochrane Database Syst Rev* 2005; Issue 3
3. Farquhar CM, Marjoribanks J, Lethaby A, Bassler R. High dose chemotherapy for poor prognosis breast cancer: systematic review and meta-analysis. *Cancer Treat Rev* 2007; 33(4): 325-337.
4. Deutsches Register für Stammzelltransplantationen. Jahresbericht 2006 [Online-Text]. 2006 [Zugriff am: 18 July 2007]. Gelesen unter: <http://www.drst.de/download/jb2006.pdf>.

## 4 Dokumentation der Stellungnahmen

### 4.1 Darlegung potenzieller Interessenkonflikte der Stellungnehmenden

Im Folgenden sind die potenziellen Interessenkonflikte der Stellungnehmenden zusammenfassend dargestellt. Alle Informationen beruhen auf Selbstangabe der einzelnen Personen anhand des „Formblatts zur Darlegung potenzieller Interessenkonflikte“. Das Formblatt ist unter <http://www.iqwig.de> abrufbar. Die in diesem Formblatt aufgeführten Fragen finden sich im Anschluss an diese Zusammenfassung.

#### Stellungnahmen von Fachgesellschaften, Firmen und Organisationen

| Institution / Firma                              | Name          | Frage 1 | Frage 2 | Frage 3 | Frage 4 | Frage 5 | Frage 6 | Frage 7 | Frage 8 |
|--|---------------|---------|---------|---------|---------|---------|---------|---------|---------|
| Verband Forschender Arzneimittelhersteller (VFA) | Dr. S. Wahler | ja      | ja      | ja      | ja      | ja      | ja      | ja      | nein    |
|  | H. Thole      | ja      | ja      | ja      | nein    | nein    | nein    | nein    | ja      |

Im „Formblatt zur Darlegung potenzieller Interessenkonflikte“ wurden folgende 8 Fragen gestellt:

*Frage 1:* Sind oder waren Sie innerhalb der letzten 3 Jahre bei einer Person, Institution oder Firma<sup>1</sup> abhängig (angestellt) beschäftigt, die von den Ergebnissen Ihrer wissenschaftlichen Arbeit für das Institut<sup>2</sup> finanziell profitieren könnte?

*Frage 2:* Beraten Sie oder haben Sie innerhalb der letzten 3 Jahre eine Person, Institution oder Firma direkt oder indirekt<sup>3</sup> beraten, die von den Ergebnissen Ihrer wissenschaftlichen Arbeit für das Institut finanziell profitieren könnte?

*Frage 3:* Haben Sie abseits einer Anstellung oder Beratungstätigkeit innerhalb der letzten 3 Jahre im Auftrag einer Person, Institution oder Firma, welche von den Ergebnissen Ihrer wissenschaftlichen Arbeit für das Institut finanziell profitieren könnte, Honorare für Vorträge, Stellungnahmen, Ausrichtung und oder Teilnahme an Kongressen und Seminaren - auch im Rahmen von Fortbildungsveranstaltungen, oder für (populär-)wissenschaftliche oder sonstige Aussagen oder Artikel erhalten?<sup>4</sup>

*Frage 4:* Haben Sie und/oder die Einrichtung, für die Sie tätig sind, abseits einer Anstellung oder Beratungstätigkeit innerhalb der letzten 3 Jahre von einer Person, Institution oder Firma, welche von den Ergebnissen Ihrer wissenschaftlichen Arbeit für das Institut finanziell profitieren könnte, finanzielle Unterstützung für Forschungsaktivitäten, andere wissenschaftliche Leistungen oder Patentanmeldungen erhalten?

*Frage 5:* Haben Sie und/oder die Einrichtung, bei der Sie angestellt bzw. beschäftigt sind innerhalb der letzten 3 Jahre sonstige finanzielle oder geldwerte Zuwendungen (z.B. Ausrüstung, Personal, Reisekostenunterstützung ohne wissenschaftliche Gegenleistung) von einer Person, Institution oder Firma erhalten, welche von den Ergebnissen Ihrer wissenschaftlichen Arbeit für das Institut finanziell profitieren könnte?

---

<sup>1</sup> Mit solchen „Personen, Institutionen, oder Firmen“ sind im Folgenden alle Einrichtungen gemeint, die direkt oder indirekt einen finanziellen oder geldwerten Vorteil aus dem Ergebnis Ihrer wissenschaftlichen Arbeit für das Institut ziehen könnten. Hierzu gehören z.B. auch medizinische Einrichtungen, die eine zu bewertende medizinische Intervention durchführen und hierdurch Einkünfte erhalten.

<sup>2</sup> Mit „wissenschaftlicher Arbeit für das Institut“ sind im Folgenden alle von Ihnen für das Institut erbrachten oder zu erbringenden Leistungen und/oder an das Institut gerichteten mündlichen und schriftlichen Recherchen, Bewertungen, Berichte und Stellungnahmen gemeint.

<sup>3</sup> „Indirekt“ heißt in diesem Zusammenhang z.B. im Auftrag eines Institutes, das wiederum für eine entsprechende Person, Institution oder Firma tätig wird.

<sup>4</sup> Sofern Sie von einer Person, Institution oder Firma im Verlauf der letzten 3 Jahre mehrfach Honorare erhalten haben reicht es aus, diese für die jeweilige Art der Tätigkeit summiert anzugeben.

*Frage 6:* Besitzen Sie Aktien, Optionsscheine oder sonstige Geschäftsanteile (auch in Fonds) von einer Firma oder Institution, welche von den Ergebnissen Ihrer wissenschaftlichen Arbeit für das Institut finanziell profitieren könnte?

*Frage 7:* Haben Sie persönliche Beziehungen zu einer Person, Firma oder Institution bzw. Mitarbeitern einer Firma oder Institution, welche von den Ergebnissen Ihrer wissenschaftlichen Arbeit für das Institut finanziell profitieren könnte?

*Frage 8:* Gibt es andere bislang nicht dargestellte potenzielle Interessenkonflikte, die in Beziehung zu Ihrer wissenschaftlichen Arbeit für das Institut stehen könnten?

## **4.2 Stellungnahmen von Fachgesellschaften, Firmen und Vereinigungen**

#### **4.2.1 Verband Forschender Arzneimittelhersteller (VFA)**

**Autoren:**

Dr. S. Wahler

H. Thole

**Adresse:**

Hausvogteiplatz 13

10117 Berlin



Verband Forschender  
Arzneittelhersteller e.V.

**Stellungnahme zum Berichtsplan  
"Autologe Stammzelltransplantation bei der Indikation  
Mammakarzinom" - Auftrag N 05-03 E**

**Einleitung**

Am 14.08.2007 wurde der Berichtsplan „Autologe Stammzelltransplantation bei der Indikation Mammakarzinom“ vom Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) zur Anhörung gestellt. Wir begrüßen die Möglichkeit, mit einer Stellungnahme den Berichtsplan zu kommentieren.

Seite 1/4

**Problemstellung**

Der vorliegende Auftrag wurde 2005 erteilt und erst mit dem Monat August 2008 zur Anhörung gestellt. Durch die vom IQWiG verschleppte Bearbeitung ergeben sich in der Folge eine Reihe ernsthafter Probleme, die Verletzungen der gesetzlichen Forderungen darstellen und die im Folgenden dargestellt werden.

**Unvollständige Darlegung der Auftragsinformationen**

Der dem Berichtsplan zu Grunde liegende Auftrag wurde vom G-BA am 15.03.2005 beauftragt. Wie im Berichtsplan auf S. 9 angegeben, erfolgte eine Konkretisierung des Auftrages bereits am 08.11.2005. Weder zum grundlegenden Auftrag noch zur erfolgten Konkretisierung werden jedoch Informationen gegeben. Insbesondere die auf S. 13 erwähnten, vom G-BA an das IQWiG weitergeleiteten Stellungnahmen sind nicht im Berichtsplan enthalten.

Nach § 35b Abs. 1 Satz 6 SGB V hat das IQWiG bei den Bewertungsverfahren *hohe Verfahrenstransparenz* und eine *angemessene Beteiligung* der in § 35 Abs. 2 und § 139a Abs. 5 Genannten zu gewährleisten. Ferner spricht § 139a Abs. 5 von einer *Beteiligung in allen wichtigen Abschnitten des Bewertungsverfahrens*. Dabei hatte der Gesetzgeber auch die Beteiligung der Fachkreise und Betroffenen bei der Erstellung der Berichtspläne im Blick.<sup>1</sup> Das Methodenpapier Version 2.0 spricht auf S. 102 dagegen nur davon, die Definition der Zielkriterien „ggf. unter Einbeziehung externer Expertise und/oder Meinung“, in die dann einzelne Betroffene, Patientenvertretungs- und/oder Verbraucherorganisationen einbezogen werden sollen, zu leisten.

Hausvogelplatz 13  
10117 Berlin  
Telefon 030 20604-0  
Telefax 030 20604-222  
www.vfa.de

Hauptgeschäftsführerin  
Cornelia Yzer

<sup>1</sup> Bundestagsdrucksache BT 16/3100, S. 151;  
<http://diplo.bundestag.de/btd/16/031/1603100.pdf> (Zugriff 17.07.07, 16:00 Uhr)



Verband Forschender  
Arzneimittelhersteller e.V.

Der Berichtsplan ist somit unvollständig. Die fehlenden Unterlagen hätten mit dem Berichtsplan zusammen veröffentlicht werden müssen, um eine Kommentierung des Berichtsplans zusammen mit allen relevanten Fakten zu ermöglichen.

Der Berichtsplan verletzt die Festlegungen des GKV-WSG in Bezug auf Beteiligung und Transparenz.

#### **Unklare Recherche und Informationsbeschaffung**

Im Zusammenhang mit dem zuvor benannten Punkt ist sowohl die Recherche als auch die Informationsbeschaffung unklar. Grundlage der Beauftragung sowie der Konkretisierung müssen mindestens orientierende Literaturrecherchen gewesen sein, die im Berichtsplan hätten dargelegt werden müssen. Ferner ist anhand verschiedener wertender Aussagen im Berichtsplan zu ersehen, dass der seit über zwei Jahren in Bearbeitung befindliche Auftrag schon – in unklarem Umfang – bearbeitet worden ist. Daraus folgt, dass Ergebnisse aus Literaturrecherchen und Datenextraktionen vorliegen, die zur Erzeugung einer Transparenz hätten angegeben werden müssen. Der Berichtsplan ist insofern unvollständig. Die vom Gesetz vorgegebene Beteiligung ist nicht erfolgt, die Erörterung selber kann hier keine Abhilfe schaffen, da wichtige Vorinformationen fehlen. Ferner sind die verwendeten Datenextraktionsbögen nicht im Berichtsplan enthalten, so dass eine Nachvollziehbarkeit auch in Bezug auf die Informationsauswahl nicht gegeben ist.

Seite 2/4

Ferner fehlt vollständig jegliche Angabe zum Recherchezeitraum. Unter Bezug auf die bereits zuvor gemachten Kommentare bleibt somit vollständig unklar, wann hier was recherchiert wurde oder weiterhin recherchiert werden soll.

Der Berichtsplan verletzt die Forderungen des GKV-WSG in Bezug auf das Kriterium der Transparenz auch hier.

#### **Unklare Ein- und Ausschlusskriterien**

Vor allem das Ausschlusskriterium A1 ist – v.a. auf dem Boden der zuvor bereits benannten Defizite – nicht begründbar. Der gewählte Cut-Off von  $\leq 80\%$  zu beteiligender Patienten ist willkürlich und führt zum Ausschluss vorhandener Evidenz. Im Berichtsplan fehlen Evidenzen dafür, dass dieser Cut-Off-Wert berechtigtermaßen zu benutzen ist.

Das Ausschlusskriterium A3 widerspricht u.U. dem VFA-Mustervertrag, was im Einzelfall nur von den Firmen, die entsprechende Informationen eingereicht haben, beurteilt werden kann. Im Ergebnis werden hier u.U. Informationen durch das IQWiG unterdrückt und die Evidenzlage damit verfälscht.





Verband Forschender  
Arzneimittelhersteller e.V.

Die vorgegebenen Ausschlusskriterien verschmälern die Evidenzbasis über die schon vorgegebene Einschränkung durch die Beschränkung auf RCTs hinaus noch weiter und führen im Ergebnis zu einem Bericht, der nicht die vorhandene Evidenz für eine Entscheidung des G-BA darlegt.

#### **Fehlende Berücksichtigung vorhandener Evidenz**

Die wesentliche Einschränkung, die in diesem Berichtsplan getroffen wird, ist die auf den Studientyp „RCT“. Dem liegt eine lediglich theoretische Erwägung zu Grunde, dass eine Betrachtung nur der RCTs ausreicht, weil sie „für die Bewertung des Nutzens einer Intervention die zuverlässigsten Ergebnisse [liefern]“. Festzustellen ist hier, dass RCTs jedoch nicht die einzige Studienform sind, in denen Nutzenaspekte erhoben werden.

Seite 3/4

RCTs bergen systematische Probleme im Hinblick auf die externe Validität. In Bezug auf externe Validität sind RCTs nicht immer die „best available evidence“. Auch das SVR-Gutachten 2007 verweist darauf, dass der Nutzenbegriff über die absolute Wirksamkeit (efficacy) von Verfahren der Gesundheitsversorgung hinausgeht.<sup>2</sup> Es ist nicht nachvollziehbar, warum die Ein- und Ausschlusskriterien im Berichtsplan nur auf RCTs fokussieren. Selbst das noch gültige – wenn auch nicht gesetzeskonforme – Methodenpapier 2.0 verweist darauf, dass alle Evidenzklassen in die Bewertung einfließen. Dies ist aber von vornherein ausgeschlossen, wenn die Literatur nicht einmal identifiziert wird, weil die vom IQWiG vorgenommene theoretische Festlegung zum Ausschluss aller anderen Evidenz außer RCTs führt.

Der Aspekt der Wirksamkeit, der in den meisten RCTs beschrieben sein dürfte, ist jedoch nicht gleichzusetzen mit „Nutzen“ – Wirksamkeit reflektiert nur einen Ausschnitt des Begriffs „Nutzen“. Die zu betrachtenden Nutzen werden darüber nicht ausreichend spezifiziert, und die erfolgte Definition der erwähnten Nutzenaspekte hat nicht gemäß den Forderungen des GKV-WSG stattgefunden.

Der Eingrenzung der zu betrachtenden Evidenz führt zur Negierung vorhandener Informationen, die zugänglich und verwertbar sind. Der Berichtsplan ist insofern grob fehlerhaft.

Die Ein- und Ausschlusskriterien sind durch aktive Beteiligung der im GKV-WSG genannten Gruppen zu definieren. Eine inhaltliche Bearbeitung des Auftrages ist erst danach möglich. Die Auswahl

<sup>2</sup> Sachverständigenrat zur Begutachtung der Entwicklung im Gesundheitswesen: Kooperation und Verantwortung, Juli 2007; Ziffer 571. <http://www.svr-gesundheit.de/Startseite/Langfassung.pdf>. (Zugriff 17.07.07, 16:00 Uhr)



Verband Forschender  
Arzneimittelhersteller e.V.

der Studien muss sich daran orientieren, ob die entsprechende (Teil-) Frage aus der jeweiligen Evidenz beantwortet werden kann, und nicht daran, ob sie theoretisch aus Informationen einer bestimmten Evidenzstufe beantwortet werden könnte.

#### **Potenzieller Missbrauch öffentlicher Mittel durch das IQWiG**

Der Berichtsplan selber hat eine Anzahl zuvor aufgezeigter grundlegender Mängel, die entgegen der Möglichkeiten der Evidenzbasierten Medizin nur zu einer massiv eingeschränkten Aussage führen. Aus den aufgezeigten Grundmängeln resultieren Folgefehler im Vorbericht, der zu erstellende Bericht ist daher absehbar unvollständig und muss daher vor einer Entscheidung durch den G-BA nachgearbeitet werden. Dadurch entstehen Folgekosten, die vermeidbar wären, wenn die genannten Punkte korrekt im Berichtsplan definiert würden.

Seite 4/4

Verschärft wird diese Situation dadurch, dass das IQWiG auf S. 6 des Berichtsplans feststellt, dass die zu bewertende Intervention in 2006 bereits nicht mehr durchgeführt wurde. An dieser Stelle muss das IQWiG die Frage beantworten, ob ein Nutzenbewertungsbericht sinnvoll ist, wenn die zu bewertende Maßnahme bereits seit über 18 Monaten nicht mehr durchgeführt wird.

Der Sachverhalt dazu sollte zusammen mit ärztlichen Vertretern der betroffenen Fachdisziplinen, der Fachgesellschaften, und den Vertretern der Pharmafirmen, die in entsprechende Studien involviert sind, diskutiert werden, am besten im Rahmen eines offenen Scoping-Workshops. Die unkritische Fortführung dieses Auftrages, der möglicherweise keinen praktischen Bezug mehr hat, würde im schlimmsten Fall zu Verschwendung öffentlicher Mittel führen.

#### **Fazit**

Insgesamt entspricht der Berichtsplan nicht den gesetzlichen Vorgaben hinsichtlich Beteiligung, Transparenz und internationale Methoden. Durch die zu eng gefasste Methodik kann keine Nutzenbewertung erfolgen. Der Berichtsplan muss vor dem Hintergrund der neuen Regelungen des GKV-WSG vollständig überarbeitet werden.

Durch die Ignorierung der gesetzlichen Forderungen liegt hier ein Berichtsplan vor, der erkennbare Mängel aufweist. Der zur Anhörung gestellte Berichtsplan muss mindestens erörtert werden, wegen der zuvor aufgeworfenen Fragen besser im Rahmen eines Scoping-Workshops diskutiert werden. Gegenstand dieser Erörterung sollte ausschließlich sein, festzustellen, ob und wie ein solcher Nutzenbewertungs-Bericht erstellt werden kann.

Berlin, 10.09.07