

Kurzfassung

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) hat am 09.10.2024 das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) beauftragt, in einem wissenschaftlichen Bericht darzulegen, ob und wie auch für Leistungen zur Behandlung seltener Erkrankungen mit entsprechend geringen Fallzahlen ohne eine hinreichend aussagekräftige Studienlage eine für die Festlegung von Mindestmengen erforderliche methodische Bewertung der Abhängigkeit zwischen der Leistungsmenge und der Qualität des Behandlungsergebnisses gemäß § 136b Absatz 1 Satz 1 Nummer 2 SGB V erfolgen kann.

Fragestellung

Ziel der vorliegenden Untersuchung ist die Erarbeitung einer Methodik zur Bewertung des Zusammenhangs zwischen der Leistungsmenge und der Qualität des Behandlungsergebnisses für Leistungen zur Behandlung seltener Erkrankungen mit entsprechend geringen Fallzahlen ohne eine hinreichend aussagekräftige Studienlage.

Methoden

Der vorliegende Auftrag umfasst die Ausarbeitung von Möglichkeiten, wie der Zusammenhang von Leistungsmenge und Qualität des Behandlungsergebnisses bei seltenen Erkrankungen bewertet werden kann. Diese Ausarbeitung wurde durch eine orientierende Informationsbeschaffung unterstützt, mit dem Ziel der Identifikation von methodischen Dokumenten zu folgenden Aspekten:

- methodische Herleitungen von Vorgaben zu Mindestmengen bei seltenen Erkrankungen aus anderen Ländern, sowie von Vorgaben zu Zertifizierungen von Krankenhäusern bei der Behandlung von spezifischen seltenen Erkrankungen,
- übergeordnete methodische Literatur zu Mindestmengen zum Themenkomplex seltene Erkrankungen,
- methodische Literatur zum Thema Übertragbarkeit von Studienergebnissen auf andere Populationen / Interventionen.

Die Informationsbeschaffung zu methodischen Dokumenten für den vorliegenden Auftrag umfasste vorausgegangene methodische Arbeiten am Institut zum Thema Übertragbarkeit von Studienergebnissen auf andere Populationen / Interventionen sowie zum Thema Mindestmengen, eine orientierende Literaturrecherche in MEDLINE, eine Website-Suche bei anderen HTA-Agenturen und Zertifizierungsstellen sowie basierend auf zuvor identifizierten methodischen Dokumenten das Sichten von Referenzlisten, die Verwendung der „Cited Reference“-Funktion in Semantic Scholar und der „Similar Articles“-Funktion in PubMed.

Es wurden methodische Eckpunkte formuliert, die hinsichtlich der Übertragbarkeit von Ergebnissen zu Zusammenhängen zwischen Leistungsmenge und Qualität des Behandlungsergebnisses zwischen Populationen und / oder Interventionen zu berücksichtigen sind.

Ergebnisse

Im Rahmen der orientierenden Informationsbeschaffung wurden keine Dokumente zu methodischen Herleitungen von Vorgaben zu Mindestmengen bei seltenen Erkrankungen aus anderen Ländern oder von Vorgaben zu Zertifizierungen von Krankenhäusern bei der Behandlung von spezifischen seltenen Erkrankungen identifiziert. Ebenso wurde keine relevante übergeordnete methodische Literatur zu Mindestmengen bei seltenen Erkrankungen identifiziert.

Für die Untersuchung des Zusammenhangs zwischen der Leistungsmenge und der Qualität des Behandlungsergebnisses bei seltenen Erkrankungen wurde folgende Methode erarbeitet: Der erste Schritt bei der Bearbeitung von Aufträgen zur Bewertung des Zusammenhangs zwischen Leistungsmenge und Qualität des Behandlungsergebnisses für bestimmte risikobehaftete Interventionen durch das IQWiG besteht in einer umfassenden Informationsbeschaffung (enthält u. a. eine systematische Literaturrecherche) zu geeigneten Studien. Werden geeignete Studien identifiziert, so werden die Ergebnisse hinsichtlich ihrer Vertrauenswürdigkeit geprüft. Aus folgenden Gründen können sich hier Einschränkungen ergeben: mangelnde Präzision aufgrund von kleinen Fallzahlen und Ungenauigkeiten in den verwendeten Abrechnungsdaten oder in der Codierung, die aufgrund der kleinen Fallzahlen bei seltenen Erkrankungen verstärkt ins Gewicht fallen. Werden Studien mit hinreichend vertrauenswürdigen Ergebnissen identifiziert, so wird im Weiteren vorgegangen wie bei den Rapid Reports zum Zusammenhang zwischen Leistungsmenge und Qualität des Behandlungsergebnisses für Erkrankungen beziehungsweise Interventionen mit einer aussagekräftigeren Datenlage. Werden ausschließlich Studien mit einer geringen Vertrauenswürdigkeit identifiziert, können diese gegebenenfalls im Rapid Report ergänzend dargestellt werden. Um eine Aussage zum Zusammenhang zwischen der Leistungsmenge und der Qualität des Behandlungsergebnisses treffen zu können, muss jedoch weitere Evidenz herangezogen werden. In diesem Fall, oder im Fall, dass keine geeigneten Studien identifiziert wurden, kann eine Übertragung von Evidenz zum Zusammenhang zwischen Leistungsmenge und Qualität des Behandlungsergebnisses von einer anderen Population oder Intervention auf die im Auftrag genannte in Betracht gezogen werden.

Ausschlaggebend für die Bewertung der Angemessenheit, eine Aussage zum Zusammenhang zwischen der Leistungsmenge und der Qualität des Behandlungsergebnisses auf Basis einer Übertragung von Evidenz zu treffen, sind immer klinische, verfahrensbezogene Überlegungen bezüglich der jeweiligen spezifischen Population und / oder Intervention. Daher kann keine allgemeingültige Checkliste erstellt werden. Es kann lediglich ein Katalog von potenziell relevanten Kriterien herangezogen werden. Die einzelnen Kriterien thematisieren verschiedene Aspekte, die bei der Beurteilung der Übertragbarkeit zwischen Populationen

und / oder Interventionen gegebenenfalls relevant sind und dann entsprechend berücksichtigt werden sollten. Die Beurteilung der Übertragbarkeit muss für jeden Endpunkt separat erfolgen.

Bei der Informationsbeschaffung wurden keine Dokumente identifiziert, die explizit die Beurteilung von Übertragbarkeit im Kontext von Studien zum Zusammenhang zwischen Leistungsmenge und Qualität des Behandlungsergebnisses thematisieren. Daher wurden für die Erarbeitung des Kriterienkatalogs Dokumente zur Übertragbarkeit aus anderen Kontexten, beispielsweise aus dem Bereich systematischer Übersichtsarbeiten, herangezogen. Es wurden 15 Dokumente identifiziert, die Kriterien zur Übertragung von Evidenz nennen. Die in den Dokumenten genannten Kriterien wurden extrahiert und zu einem Katalog von Kriterien für die Fragestellung des Rapid Reports zusammengestellt.

Der erarbeitete Katalog umfasst Kriterien zu folgenden Themenkomplexen:

- Krankheitsbild und Krankheitsverlauf
- Soziodemografische Patientencharakteristika
- Erkrankungsspezifische Patientencharakteristika
- Diagnosestellung
- Begleiterkrankungen
- Intervention
- Durchführung der Intervention
- Nachsorge
- Begleitbehandlungen
- Endpunkte
- Spezialisierung und Erfahrung der behandelnden Personen
- Setting
- Weitere Kriterien, die nicht in den vorherigen Punkten enthalten sind

Ziel der Verwendung der Kriterien ist es, Unterschiede zwischen den Populationen und / oder Interventionen zu identifizieren, die für die Übertragbarkeit relevant sein können. Werden solche Unterschiede identifiziert, ist für jeden Endpunkt zu prüfen, ob eine Übertragung der Ergebnisse, eventuell unter Einschränkungen, sinnvoll ist und inwiefern sie bei der Interpretation der übertragenen Ergebnisse berücksichtigt werden müssen.

Die Auswahl der Kriterien und ihre Beurteilung erfordert klinischen und / oder verfahrensbezogenen Sachverstand und sollte daher in der Regel unter Einbeziehung von klinischen

Expertinnen und Experten sowohl für die Zielpopulation / -intervention als auch für die zu übertragende Population / Intervention erfolgen. Des Weiteren kann für die Entscheidung, welche Ausgangspopulation(en) oder -intervention(en) für eine Übertragung auf die Zielpopulation und -intervention grundsätzlich infrage kommen und, im Falle mehrerer geeigneter Ausgangspopulationen oder -interventionen, welche prioritär betrachtet werden sollen, zusätzlich externe Evidenz, zum Beispiel in Form von systematischen Übersichtsarbeiten, hinzugezogen werden.

Ist eine oder sind mehrere Ausgangspopulation(en) und -intervention(en) festgelegt, so wird – entsprechend dem methodischen Vorgehen bei nicht seltenen Erkrankungen bzw. Interventionen – für die jeweiligen Ausgangspopulationen bzw. -interventionen eine umfassende Informationsbeschaffung durchgeführt und der Zusammenhang zwischen der Leistungsmenge und der Qualität des Behandlungsergebnisses bewertet.

Fazit

In dem vorliegenden Rapid Report wurde eine Methodik zur Bewertung des Zusammenhangs zwischen der Leistungsmenge und der Qualität des Behandlungsergebnisses für Leistungen zur Behandlung seltener Erkrankungen erarbeitet. Im ersten Schritt erfolgt immer eine umfassende Informationsbeschaffung von Studien für die gegebene Fragestellung. Werden keine hinreichend aussagekräftigen Studien identifiziert, kann eine Übertragung von einer anderen Population oder Intervention in Betracht gezogen werden. Hierzu muss geprüft werden, von welcher Population und / oder Intervention dies sinnvoll möglich ist.

Maßgeblich bei der Prüfung auf Übertragbarkeit sind klinische und verfahrensbezogene Überlegungen, die spezifisch für die jeweilige Fragestellung sind. Auf Basis von Kriterien für die Übertragbarkeit von Evidenz in anderen Kontexten wurde ein Katalog von Kriterien erstellt. Dieser Kriterienkatalog soll dazu dienen, Unterschiede zwischen den Populationen und -interventionen abzuwägen und die Übertragbarkeit zu beurteilen. Dies soll in der Regel unter Einbezug klinischer Expertinnen oder Experten erfolgen.

Wenn eine Population bzw. Intervention für die Übertragung der Evidenz identifiziert wurde, kann für diese der Zusammenhang zwischen der Leistungsmenge und der Qualität des Behandlungsergebnisses entsprechend der Methodik bei Rapid Reports zum Zusammenhang zwischen der Leistungsmenge und der Qualität des Behandlungsergebnisses mit hinreichend aussagekräftiger Studienlage untersucht werden.

Die Entwicklung der Methode erfolgte auf Basis von Literatur zur Übertragung von Evidenz. Es wurden keine Dokumente zu methodischen Herleitungen von Vorgaben zu Mindestmengen bei seltenen Erkrankungen oder von Vorgaben zu Zertifizierungen von Krankenhäusern bei der Behandlung von spezifischen seltenen Erkrankungen sowie keine übergeordnete methodische Literatur zu Mindestmengen bei seltenen Erkrankungen identifiziert.