



Bewertung der Qualität gesundheitsökonomischer Modelle aus der Perspektive der Industrie

Björn Stollenwerk

16. Juni, 2023

AMGEN

Agenda

Gesundheitsökonomische Modelle dürfen den Wert innovativer Produkte nicht systematisch unterschätzen. Dies gilt es bei der Bewertung der Qualität gesundheitsökonomischer Modelle zu berücksichtigen.

- Was ist ein gesundheitsökonomisches Modell?
- Rolle ökonomischer Modelle in Erstattungsentscheidungen
- Wissenslücken
- Konsequenzen konservativer Modellannahmen
- Grundlegende Unterschiede zwischen klinischen Studien und ökonomischen Modellen

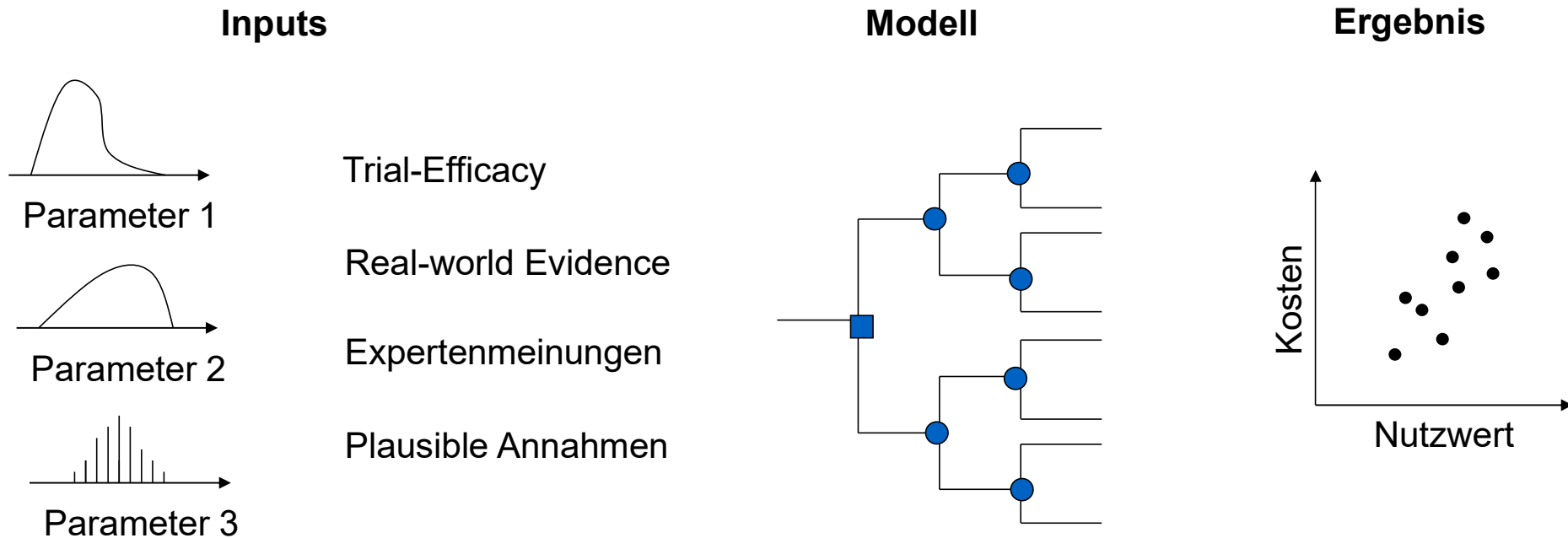
Agenda

Gesundheitsökonomische Modelle dürfen den Wert innovativer Produkte nicht systematisch unterschätzen. Dies gilt es bei der Bewertung der Qualität gesundheitsökonomischer Modelle zu berücksichtigen.

- **Was ist ein gesundheitsökonomisches Modell?**

- Rolle ökonomischer Modelle in Erstattungsentscheidungen
- Wissenslücken
- Konsequenzen konservativer Modellannahmen
- Grundlegende Unterschiede zwischen klinischen Studien und ökonomischen Modellen

Was ist ein entscheidungsanalytisches Modell in der gesundheitsökonomischen Evaluation?



In der ökonomischen Evaluation wird das bestehende Wissen in einem einzigen Modell mathematisch zusammengefasst

Agenda

Gesundheitsökonomische Modelle dürfen den Wert innovativer Produkte nicht systematisch unterschätzen. Dies gilt es bei der Bewertung der Qualität gesundheitsökonomischer Modelle zu berücksichtigen.

- Was ist ein gesundheitsökonomisches Modell?
- **Rolle ökonomischer Modelle in Erstattungsentscheidungen**
- Wissenslücken in Modellen
- Konsequenzen konservativer Modellannahmen
- Grundlegende Unterschiede zwischen klinischen Studien und ökonomischen Modellen

Was ist die Rolle ökonomischer Modelle in Erstattungsentscheidungen?

HTA-Behörden mit grossem Einfluss ökonomischer Modelle (Auswahl)

NICE National Institute for Health and Care Excellence



Canada's Drug and Health Technology Agency



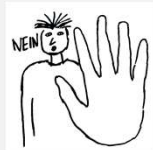
Institut national d'excellence en santé et en services sociaux
Québec



The Pharmaceutical Benefits Advisory Committee

TLV TANDVÅRDS- OCH LÄKEMEDELSFÖRMÅNSVERKET

Ablehnung trotz medizinischer Zulassung



Erstattung in Subpopulation



Gesundheitsökonomische Modelle beeinflussen ob und welche Patient:innen Zugang zu innovativen Produkten bekommen

Agenda

Gesundheitsökonomische Modelle dürfen den Wert innovativer Produkte nicht systematisch unterschätzen. Dies gilt es bei der Bewertung der Qualität gesundheitsökonomischer Modelle zu berücksichtigen.

- Was ist ein gesundheitsökonomisches Modell?
- Rolle ökonomischer Modelle in Erstattungsentscheidungen
- **Wissenslücken in Modellen**
- Konsequenzen konservativer Modellannahmen
- Grundlegende Unterschiede zwischen klinischen Studien und ökonomischen Modellen

Wissenslücken aufgrund Limitationen klinischer Studien

Ethische Gründe

- Begrenzte Anzahl Studienteilnehmer:innen
 - Schlechtere Therapie vermeiden
 - Auswirkung auf Präzision
- Crossover im Kontrollarm erlauben
 - Kontrollgruppe soll in den Genuss der Therapie kommen
- Placebo oder «schlechtere» Behandlungsmethoden ggf. unethisch

Praktische Gründe

- Ungeplanter Crossover
 - Produkt bereits auf dem Markt (andere Indikation/off-label, oder Confirmatory Trial)
- Limitierte Anzahl Studienteilnehmer:innen bei seltenen Erkrankungen
- Patient:innenbelastung
 - Push-back/fehlende Werte bei langen Fragebögen
- Head-to-Head Studien
 - Enorme Fallzahlen um systematische Unterschiede in Mortalität zu erfassen
- Kosten

**Surrogatparameter spielen in der Modellierung eine entscheidende Rolle
z.B. Biomarker (LDL, PTH, etc.), PFS, Hospitalisierungen**

8 PFS, progression-free survival; LDL, low-density lipoprotein; PTH, parathyroid hormone

AMGEN

Wissenslücken durch Extrapolation

- Lebenszeit-Modelle, klinische Studien sind kürzer
- Studien beziehen sich auf die Vergangenheit, ökonomische Modelle auf die Zukunft
- Unterschiede zwischen Studien und realer Welt
- Studienpopulationen oft gesünder
- Persistenz und Compliance kann anders sein
- Unterschiede zwischen Ländern

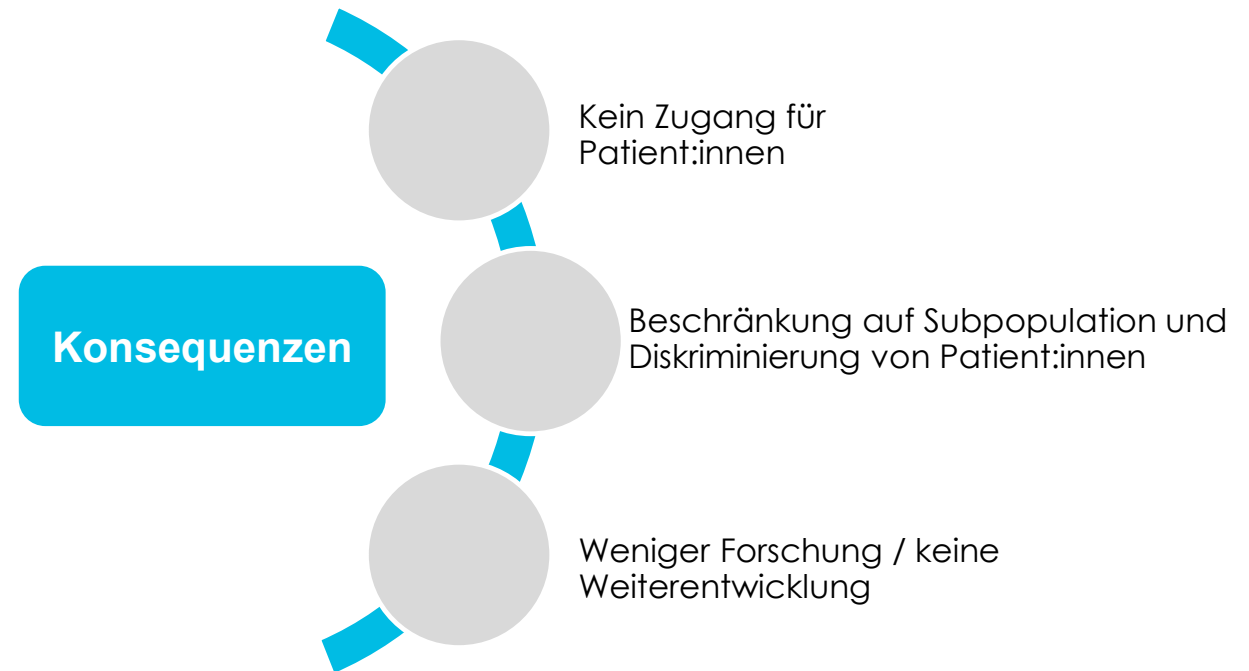
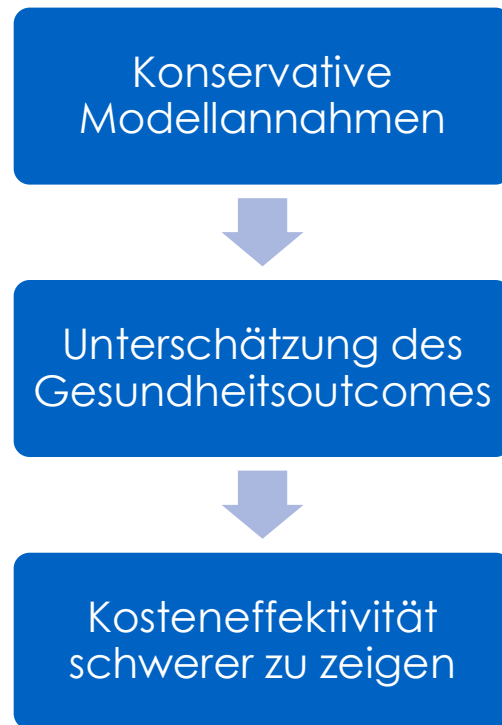
Wissenslücken sind unvermeidbar und müssen mit Annahmen gefüllt werden

Agenda

Gesundheitsökonomische Modelle dürfen den Wert innovativer Produkte nicht systematisch unterschätzen. Dies gilt es bei der Bewertung der Qualität gesundheitsökonomischer Modelle zu berücksichtigen.

- Was ist ein gesundheitsökonomisches Modell?
- Rolle ökonomischer Modelle in Erstattungsentscheidungen
- Wissenslücken in Modellen
- **Konsequenzen konservativer Modellannahmen**
- Grundlegende Unterschiede zwischen klinischen Studien und ökonomischen Modellen

Konsequenzen konservativer Modellannahmen



Systematische konservative Annahmen unterschätzen den tatsächlichen Wert des Produkts, und können dazu führen, dass Patient:innen die Behandlung nicht bekommen, die sie brauchen.

Agenda

Gesundheitsökonomische Modelle dürfen den Wert innovativer Produkte nicht systematisch unterschätzen. Dies gilt es bei der Bewertung der Qualität gesundheitsökonomischer Modelle zu berücksichtigen.

- Was ist ein gesundheitsökonomisches Modell?
- Rolle ökonomischer Modelle in Erstattungsentscheidungen
- Wissenslücken in Modellen
- Konsequenzen konservativer Modellannahmen
- **Grundlegende Unterschiede zwischen klinischen Studien und ökonomischen Modellen**

Klinische Studien und ökonomische Modelle: Grundlegende Unterschiede in der Zielsetzung

Klinische Studien

- Qualitative Entscheidung
- Ist die neue Behandlung besser als die Alte?
- Punktschätzer weniger relevant
- Intention-to-treat (ITT) geeignet
- Punktschätzer verzerrt

Ökonomische Evaluation

- Möglichst punktgenaue Abschätzung der Folgen der Intervention
- Es geht darum die «richtige» Erstattungsentscheidung für die Patient:innen zu treffen

Es geht bei ökonomischen Modellen nicht darum festzustellen, ob das Produkt wirkt, sondern darum den tatsächlichen Wert des Produktes möglichst punktgenau zu schätzen

Zusammenfassung & Fazit

- In der ökonomischen Evaluation wird das bestehende Wissen in einem einzigen Modell mathematisch zusammengefasst
- Gesundheitsökonomische Modelle beeinflussen ob und welche Patient:innen Zugang zu innovativen Produkten bekommen
- Wissenslücken sind unvermeidbar und müssen mit Annahmen gefüllt werden
- Systematische konservative Annahmen unterschätzen den tatsächlichen Wert des Produkts, und können dazu führen, dass Patient:innen die Behandlung nicht bekommen, die sie brauchen.
- Bei ökonomischen Modellen geht nicht darum festzustellen, ob das Produkt wirkt, sondern darum den tatsächlichen Wert des Produktes möglichst punktgenau zu schätzen

Gesundheitsökonomische Modelle dürfen den Wert innovativer Produkte nicht systematisch unterschätzen. Dies gilt es bei der Bewertung der Qualität gesundheitsökonomischer Modelle zu berücksichtigen.