



# 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

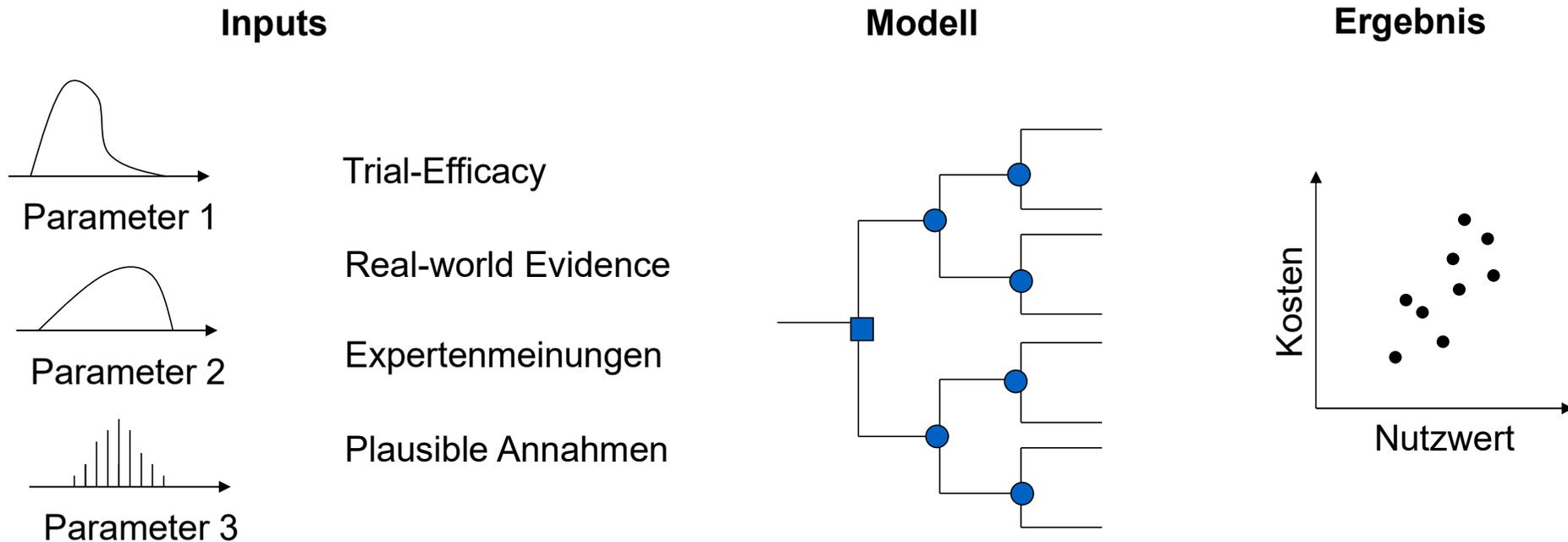
# Agenda

**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



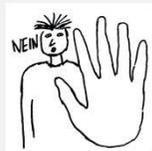
Institut national d'excellence en santé et en services sociaux  
Québec



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

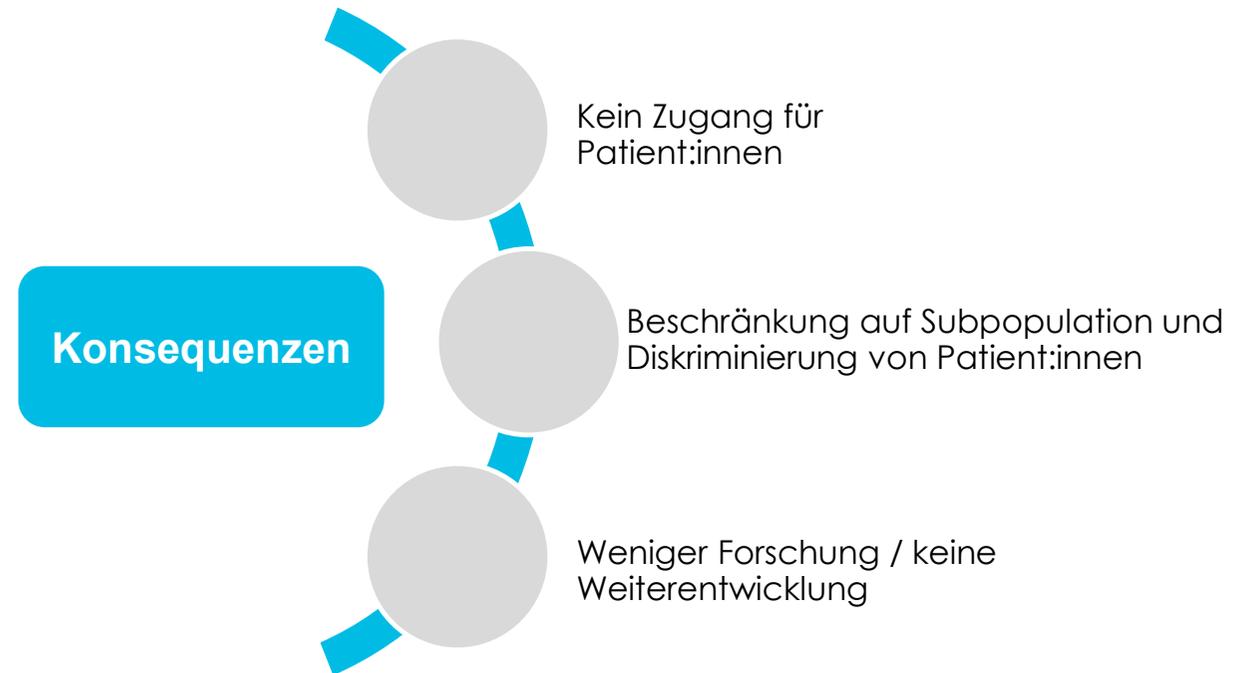
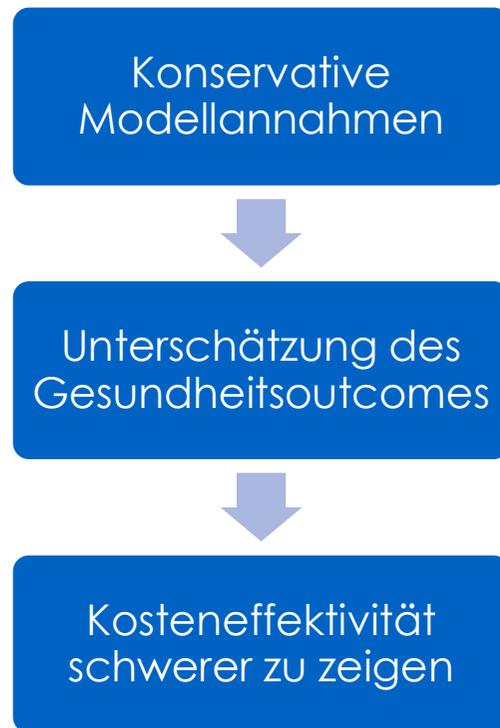
**Wissenslücken sind unvermeidbar und müssen mit Annahmen gefüllt werden**

# 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.**