

“Wirksamkeit, Nutzen und Notwendigkeit“

J. Köbberling, Wuppertal

IQWiG Herbst-Symposium

Köln, 28.11.2008

*Verachte nur Vernunft und Wissenschaft,
Des Menschen allerhöchste Kraft,
Laß nur in Blend- und Zauberwerken
Dich von dem Lügengeist bestärken,
So hab ich dich schon unbedingt-*

Schon gut!

Nur muß man sich nicht allzu ängstlich quälen

Denn eben wo Begriffe fehlen,

Da stellt ein Wort zur rechten Zeit sich ein.

Mit Worten läßt sich trefflich streiten,

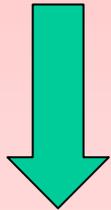
Mit Worten ein System bereiten,

An Worte läßt sich trefflich glauben,

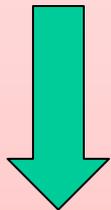
Von einem Wort läßt sich kein Jota rauben.

Hierarchie der Begriffe I

Wirksamkeit



Nutzen



Notwendigkeit

- Wirksamkeit heißt nicht immer auch Nutzen
- Es gibt keinen Nutzen ohne Wirksamkeit
- Nutzen heißt nicht immer auch Notwendigkeit
- Es gibt keine Notwendigkeit ohne Nutzen

*Und wenn das Erst und Zweit nicht wär,
Das Dritt und Viert wär nimmermehr*

Wirksamkeit

Vorkommen des Begriffs „Wirksamkeit“ im SGB-V

§ 2 Leistungen: Qualität und Wirksamkeit haben dem allgemein anerkannten Stand der medizinischen Erkenntnisse zu entsprechen.

Dies ist die einzige Erwähnung von Wirksamkeit

An verschiedenen Stellen finden sich dagegen Begriffe wie „Effektivität“, „Angemessenheit“ oder „Zweckmäßigkeit“.

Auch im § 139 über das IQWiG ist viel von Qualität und Nutzen die Rede, der Begriff Wirksamkeit kommt aber nicht vor.

Wirksamkeit

Der Kern eines Wirksamkeitsbelegs ist der Nachweis einer kausalen Beziehung zwischen einer Intervention und einem definierten Ergebnis

Der Goldstandard ist die randomisierte kontrollierte Studie (RCT). Nach Windeler wäre der Begriff „Vergleichende Interventionsstudie mit gesicherter Strukturgleichheit (proVIS)“ vorzuziehen.

Die Methoden für einen Wirksamkeitsbeleg sind wissenschaftlich gut begründet und allgemein anerkannt, auch wenn sie einer gewissen Weiterentwicklung unterliegen.

Die stringenten Methoden zum Nachweis einer kausalen Beziehung gelten unabhängig davon, ob der Effekt sich auf „Wirksamkeit“, „Nutzen“, „efficacy“ oder „effectiveness“ beziehen.

Für Windeler schließen Aussagen zur Wirksamkeit bereits Aspekte des Nutzens ein.

Möglicherweise deutet die Nicht-Erwähnung von Wirksamkeit im SGB V darauf hin, dass auch hier zwischen Wirksamkeit und Nutzen nicht stringent unterschieden wird.

Da es aber eindeutig auch eine nutzlose Wirksamkeit gibt (sofern man nicht die Wirksamkeit im Hinblick auf einen angestrebten Nutzen definiert), ist es empfehlenswert, die Begriffe und die damit verbundenen Inhalte getrennt zu betrachten.

Dies wird auch vom IQWiG so gehandhabt.

Nutzen

Vorkommen des Begriffs „Nutzen“ im SGB-V

Nutzen wird häufig zusammen mit Notwendigkeit erwähnt.

§91, G-BA: eine Verfahrensordnung in der die Bewertung des Nutzens, der Notwendigkeit regelt

§ 92, Richtlinien des G-BA: ausschließen, wenn ...der therapeutische Nutzen, die Notwendigkeit nicht nachgewiesen sind.

§ 135, Methodenbewertung: wenn der G-BA Empfehlungen abgegeben hat über die Anerkennung des Nutzens ... sowie deren medizinische Notwendigkeit

Vorkommen des Begriffs „Nutzen“ im SGB-V

Nutzen allein wird nur in § 139 a im Zusammenhang mit dem IQWiG erwähnt

Satz 3,5: Bewertung des Nutzens und der Kosten von Arzneimitteln

Satz 4: ... zu gewährleisten, dass die Bewertung des medizinischen Nutzens nach den international anerkannten Standards der evidenzbasierten Medizin erfolgt.

Bezugsebenen des Nutzens

Der Patient *

Die Kostenträger *

Die Gesellschaft *

Die Wissenschaft

Die Ärzte

Die Pfleger

Die Forscher

Die Angehörigen

Die Pharmaindustrie

Die Politiker

Nutzen aus Patientensicht

- Verringerung von Morbidität und Mortalität
- Geringere Belastung durch vereinfachte Therapie-modalitäten oder durch verminderte Kontakthäufigkeit mit dem medizinischen Versorgungssystem
- Verbesserung der Lebensqualität trotz einer bestehenden Erkrankung
- Verringerung eines Risikos für bestimmte Erkrankungen

Nutzen aus Sicht der Kostenträger

- Geringere aktuelle Behandlungskosten
- Nachhaltigkeit der Therapie, damit Einsparungen im System
- Geringerer Verwaltungsaufwand durch Standardisierung
- Zufriedenheit des Patienten (Wettbewerbsvorteil)

Nutzen aus der Sicht der Gesellschaft

- Erhöhung des Vertrauens in die Sicherungssysteme
- Erhöhung der Beschäftigungsquote
- Vermeidung langen Siechtums (auch unter Inkaufnahme eines schnellen Todes?)

Insgesamt ist ein Nutzen sehr stark wertehabhängig. Ein „objektiver“ Nutzen ist kaum definierbar.

Kontextabhängigkeit des (patientenorientierten) Nutzens

- Schwere der Krankheit
- Begleitkrankheiten
- Medizinisches und soziales Umfeld
- Erwartungen des Patienten
- Präferenzen des Patienten

Nutzen ist beides

Efficacy

Der Nutzen im Sinne einer kausalen Beziehung, der mit Hilfe von randomisierten kontrollierten Studien bewertet wird.

Effectiveness

Der Nutzen unter Alltagsbedingungen, der meist geringer ist, als der in Studien belegte Nutzen.

Der Nutzenbegriff nach SGB V umfasst folgende „Tatbestandsmerkmale“ (nach Francke):

Bilanzierende Bewertung (Abwägung von Nutzen und Risiko)

Aussagen zu patientenbezogenen Endpunkten

Bewertung unter Alltagsbedingungen (nicht nur Studienbedingungen)

Vergleichende Bewertung (im Vergleich zu anderen medizinischen Methoden unter Berücksichtigung des Zusatznutzens im Verhältnis zu den Kosten)

Behandlungszielbezogene Bewertung (Erkennung, Heilung oder Verhütung der Verschlimmerung einer Krankheit, Beschwerdelinderung)

Der sozialrechtliche Nutzenbegriff

(zusammengefasst nach Francke)

Nutzen ist definiert als das positive Ergebnis oder die positive Bilanz der vergleichenden Abwägung zwischen Wirksamkeitswahrscheinlichkeit und Risiken einer medizinischen Maßnahme unter Alltagsbedingungen im Hinblick auf das diagnostische oder therapeutische Ziel oder Teilziel der Behandlung von Patientengruppen.

Nutzen ist eine bewertende Aussage über vorhandenes Wissen.

Die Kernfrage, ob der Nutzenbegriff über die Kausalitätsfrage hinaus zu erweitern ist, wird sehr kontrovers betrachtet.

Häufig wird z.B. die Auffassung vertreten, dass Kosten bereits in die Nutzenbetrachtungen einzubeziehen seien.

Gelegentlich wird auch die Auffassung vertreten, dass Kosten bereits in die Nutzenbetrachtungen einzubeziehen seien.

Der Alternativstandpunkt (der auch vom IQWiG geteilt wird) geht aber dahin, dass Kosten und Nutzen getrennt zu betrachten sind.

Mit der Einbeziehung der Kosten gewinnt der sich dann ergebende „Gesamtnutzen“ einen gesellschaftlichen Aspekt, der eine völlig neue und andersartige Qualität hat, als der mit den Methoden der Wissenschaft zu ermittelnde Nutzen.

Notwendigkeit

Grundvoraussetzungen, um eine medizinische Maßnahme als „notwendig“ anzusehen.

- Qualitativ: ein Nutzen ist sicher nachgewiesen
- Quantitativ: Es besteht ein hinreichendes Ausmaß des Nutzens
 - beim einzelnen Individuum
 - in Gruppen
- Für die entsprechende Maßnahme besteht eine Ausschließlichkeit

Vorkommen des Begriffs „Notwendigkeit“ im SGB-V

§ 2, Leistungen: ... darauf zu achten, dass die Leistungen ... nur im notwendigen Umfang in Anspruch genommen werden.

§12, Wirtschaftlichkeitsgebot und § 70, Qualität u.a.: ... Maß des Notwendigen nicht überschreiten.

§ 106, Wirtschaftlichkeitsprüfung: Gegenstand der Beurteilung sinddie medizinische Notwendigkeit der Leistungen (Indikation)

§ 275, Begutachtung und Beratung: ... die Notwendigkeit der Leistungen nach den §§ 23,24, 40 und 41 prüfen zu lassen.

Der im SGB V mehrfach auftauchende Begriff der Notwendigkeit ist nicht definiert.

Nach dem Wortsinn ist die Frage der Notwendigkeit eine qualitative, diskrete Entscheidung (ja/nein), - es gibt kein mehr oder weniger notwendig.

Nach dem Wortgebrauch ist Notwendigkeit aber ein gradueller Begriff, der stark kontextabhängig und von gesellschaftlichen Konsensen geprägt ist.

Notwendig wofür?

- zum Überleben?
- zur Heilung einer Krankheit?
- zur Verringerung eines Risikos?
- zur Wiederherstellung der Arbeitsfähigkeit?
- zur Vermeidung von Schmerzen?
- zum Wohlfühlen?

Synonyme für Notwendigkeit bzw. notwendig

- **Notwendigkeit**
- Dringlichkeit
- Erfordernis
- Bedarf
- Bedürfnis
- Gebot

- necessity
- urgency
- need
- requirement

- **notwendig**
- dringend
- erforderlich
- unentbehrlich
- unerlässlich

- necessary
- urgent
- essential
- indispensable

„Festlegung“ einer Notwendigkeit im Sinne der staatlichen Fürsorge

- eine Wohnung mit xx qm Wohnfläche,
- Heizung für eine Wohntemperatur von xx grad,
- ein Fernsehapparat (Flachbildschirm?),
- ein Auto bis zum Verkehrswert von xx €,
- xx Kinobesuche/Monat,
- und vieles andere mehr.

Wenn es so wäre (*), dass mit kurzwirksamen Insulinanaloga im Vergleich zu kurzwirksamem Humaninsulin gleich gute Therapieergebnisse auch mit einem kürzeren Spritz-Ess-Abstand erzielt werden könnten, läge dann für diesen Vorteil in der Lebensführung eine „Notwendigkeit“ vor?

(* Bitte jetzt nicht diskutieren, wir möchten die Sitzung rechtzeitig und mit heiler Haut beenden können.)

Wenn es so wäre, dass mit dem ca. 20-fach teureren Clopidogrel im Vergleich zu ASS das jährliche Reinfarkt Risiko von 4/100 auf 3/100 vermindert werden könnte (25%ige Risikoreduktion),

bestände dann die „Notwendigkeit“, dieses Präparat einzusetzen?

Wenn es so wäre, dass ein (teurerer) „Plastik-Gips“ bei gleicher Stabilität gegenüber einem „Gips-Gips“ deutlich leichter ist, dadurch angenehmer zu tragen ist und vor allem Duschen erlaubt, besteht dann die „Notwendigkeit“ zur Verwendung dieses Materials?

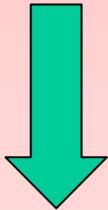
In allen genannten Fällen handelt es sich um eine Werteentscheidung.

Ist es notwendig

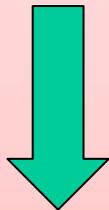
- einen kurzen Spritz-Ess-Abstand einhalten zu können,
- sein Infarkttrisiko besonders niedrig zu halten,
- auch mit Gips duschen zu können?

Hierarchie der Begriffe II

Wirksamkeit



Nutzen



Notwendigkeit

- Zunehmende Unschärfe in der Definition
- Daher zunehmende Eignung für „politische“ Aussagen
- Abnehmende Beliebtheit im wissenschaftlichen Diskurs
- Zunehmende Bedeutung in der Sozialgesetzgebung
- Zunehmende Kontextabhängigkeit
- Zunehmende Werteabhängigkeit

*Ich wünschte nicht, Euch irre zu führen.
Was diese Wissenschaft betrifft,
Es ist so schwer, den falschen Weg zu meiden,
Es liegt in ihr so viel verborgnes Gift,
Und von der Arznei ist's kaum zu unterscheiden.*

.....

*Im ganzen- haltet Euch an Worte!
Dann geht Ihr durch die sichere Pforte
Zum Tempel der Gewißheit ein.*

Doch ein Begriff muß bei dem Worte sein.