

## **RCT plus X**

# **- Diskussion um eine Unbekannte -**

*Köln, 25. November 2011*

**Dr. N. Schlottmann**  
**Geschäftsführerin Dezernat Medizin**  
**Deutsche Krankenhausgesellschaft**

## Positionen zur Methodenbewertung

- **Grundsatzfrage**: Anforderungen an die Verfügbarkeit medizinischer Leistungen in der GKV
- **Position 1**: (i.d.R) Kein RCT → Nutzen nicht belegt → Ausschluss der Leistung in der GKV → ggf. Studien
- **Position 2**: Kein RCT → Frage nach anderen Studien (best verfügbare Evidenz) → Frage nach Notwendigkeit → Frage nach Wirtschaftlichkeit → Abwägung aller Informationen → Themenspezifische Einzelentscheidung



**Unbekannte X – Der Versuch einer Annäherung?**

- Titel (RCT+X) legt primär studien- bzw. methodenbasierte Betrachtungsweise nahe (im Sinne, welche Evidenzstufe/en/Studientypen wäre/en noch zu tolerieren)
- Andere Perspektiven: z.B. Gesetzlicher Auftrag, Gesellschaftlicher Versorgungsanspruch, Patientenperspektive, GKV-Kostenperspektive
- Frage 1: Kann die isolierte Fokussierung von X auf methodische Aspekte (z.B. Evidenzstufen/Studienqualität) den Anforderungen an eine sachgerechte Methodenbewertung und Leistungsbreitstellung genügen?
- Frage 2: Welche anderen Aspekte könnten eine Rolle spielen?
- Frage 3: Bestehen Unterschiede für X bei unterschiedlicher Zielstellung (GKV-Leistungsausschluss versus Nichtanwendung bei individueller Patientenversorgung)?
- Frage 4: Kann X für alle medizinischen Leistungen einheitlich und abschließend definiert werden?

§ 135  
§ 137 c  
SGB V

Alle verfügbaren und neuen Leistungen (**stationär**), alle **neuen Leistungen** (**ambulant**) können geprüft werden

### Bewertungskriterien



**Nutzen:**  
(ausreichend)

- Unterlagen zum Nachweis der Wirksamkeit, der therapeutischen Konsequenzen einer diagnostischen Methode
- Abwägung Nutzen gegen Risiken
- Bewertung erwünschte / unerwünschte Folgen
- Nutzen im Vergleich zu anderen Methoden

**Notwendigkeit:**  
(zweckmäßig)

- Relevanz der medizinischen Problematik
- Verlauf und Behandelbarkeit der Erkrankung
- Vergleich mit diagnostischen und therapeutischen Alternativen
- Anforderungen an die Versorgung spezifischer Patientengruppen

**Wirtschaftlichkeit:**

- Kostenschätzung
- Kosten-Nutzen-Abwägung (Gesamtheit Versicherte, Folgekostenabschätzung)
- Kosten-Nutzen-Abwägung im Vergleich zu anderen Methoden

**RCT plus**

X ?

**Erforderlichkeit ?**

Nein

**Ausschluss der Methode durch Richtlinie**

**Komplexer Abwägungsprozess ob Methode erforderlich**, unter Berücksichtigung aller Erkenntnisse aus „Nutzen-“, „Notwendigkeits-“ und „Wirtschaftlichkeitsprüfung“

# Rahmenbedingungen

- **Sowohl Gesetzgebung (z.B. 137c SGB V) als auch Rechtsprechung (z.B. Nikolaus-Urteil) fordern den frühen Innovationszugang für Patienten**
- **Leistungsausschlüsse im Krankenhaus sind für alle gesetzlich Versicherten und Krankenhäuser verbindlich und streichen eine Leistung abschließend aus der GKV-Versorgung (Cave: Zweiklassenmedizin)**
- **Ambulant nicht zugelassene neue Leistungen schränken nicht das Leistungsangebot sondern nur den Ort der Leistungserbringung ein und sind im Hinblick auf dennoch bestehende Versorgungserfordernisse unkritisch**
- **Die isolierte Anwendung von Innovationen in Studien schließt die Mehrheit betroffener Patienten auf unbestimmte Zeit vom Fortschritt aus (z.B. Ausschlusskriterien, Mobilität)**
- **Grundlegende Leistungsbereitstellung in der GKV wird durch patientenindividuelle Versorgung (ärztliches Handeln) justiert**

# Grundüberlegungen 1

- **Uneingeschränkte Anerkennung der evidenzbasierten Medizin zur Feststellung der jeweiligen Erkenntnissicherheit für Methodenbewertung und tägliche Patientenversorgung. Unerlässlich um Erkenntnislücken besser zu identifizieren**
- **Aber: Alleinige Studienbewertung kann umfassende Methodenbewertung und notwendigen Dialog mit medizinischen Fachexperten nicht ersetzen**
- **Berufsordnung und ärztliche Ethik gebieten Behandlung auf dem aktuellen Stand der medizinischen Erkenntnisse unter Berücksichtigung von Innovationen. Aktueller Stand nicht gleichbedeutend mit Evidenzstufe 1**
- **Finanzielle und strukturelle Grenzen hindern offensichtlich international die Klärung relevanter medizinischer Fragestellungen**
- **Zunahme Erkenntnisgewinn erforderlich**

# Grundüberlegungen 2

- **Innovationen bedürfen eines gezielten, am Bedarf eines jeden einzelnen Patienten ausgerichteten Einsatzes (Verbesserungsbedarf)**
- **Bei der Anwendung von Innovationen sollte der zu erwartende Nutzen die Risiken für den Patienten übersteigen**
- **Patienten sind über den Innovationseinsatz und mögliche Alternativen sachgerecht aufzuklären**
- **Aus einzelnen Fehlentwicklungen muss gelernt werden, sie dürfen jedoch nicht die Gesamtheit des medizinisch technischen Fortschrittes in Misskredit bringen und die Patienten für unbestimmte Zeit vom Fortschritt ausschließen**  
*- z.B. Hormontherapie bei Frauen in der Postmenopause zur Reduktion von Herz-/Kreislaufkrankungen*



**Differenzierte patienten- und themenspezifische Evidenzbewertung**



Nicht jede Innovation kann ein Blockbuster sein, oftmals sind es viele kleine Schritte (Rückschritte inbegriffen)



**Erfordert jede Schrittinnovation erneute RCT?**



- Reduktion der Methodenbewertung auf isolierte Studienbewertung (externe Evidenz)
- Reduktion der Studienbewertung auf Randomisierte kontrollierte Studien (RCT, Evidenzstufe I)
- Bei Verfügbarkeit mehrfacher, gleichlautender RCT, Forderung nach Äquivalenzstudien oder Beleg Zusatznutzen (betrifft eigentlich Arzneimittel); (z.B. *Aussetzung TUMT bei 18 RCT*)
- Anerkennung diagnostischer Verfahren nur bei therapeutischer Konsequenz, prognostische Erkenntnisse als nicht relevant bewertet (z.B. *Ausschluss PET bei Malignen Lymphomen trotz therapeutischer Konsequenzen*)

**Sackett:** Externe klinische Evidenz (Studien) kann die klinische Erfahrung zwar ergänzen, niemals aber ersetzen. Gerade individuelle Expertise des Arztes entscheidet, ob externe Evidenz auf den einzelnen Patienten anwendbar ist.

EBM ist nicht auf randomisierte kontrollierte Studien und Metaanalysen begrenzt. Sie beinhaltet die Suche nach der jeweils besten wissenschaftlichen Evidenz zur Beantwortung der klinischen Fragestellung.

§ 137 c  
SGB V

Alle verfügbaren inkl. innovativen Leistungen (**nur stationär**), alle neuen Leistungen (**nur ambulant**) können geprüft werden

### Bewertungskriterien

#### Nutzen: (ausreichend)

- Unterlagen zum Nachweis der Wirksamkeit, der therapeutischen Konsequenzen einer diagnostischen Methode
- Abwägung Nutzen gegen Risiken
- Bewertung erwünschte / unerwünschte Folgen
- Nutzen im Vergleich zu anderen Methoden

#### Notwendigkeit: (zweckmäßig)

- Relevanz der medizinischen Problematik
- Verlauf und Behandelbarkeit der Erkrankung
- Vergleich mit diagnostischen und therapeutischen Alternativen
- Anforderungen an die Versorgung spezifischer Patientengruppen

#### Wirtschaftlichkeit:

- Kostenschätzung
- Kosten-Nutzen-Abwägung (Gesamtheit Versicherte, Folgekostenabschätzung)
- Kosten-Nutzen-Abwägung im Vergleich zu anderen Methoden

RCT plus

X ?

Erforderlichkeit ?

Ja

Nein

Ausschluss der Methode durch Richtlinie

**Komplexer Abwägungsprozess ob Methode erforderlich**, unter Berücksichtigung aller Erkenntnisse aus „Nutzen-“, „Notwendigkeits-“ und „Wirtschaftlichkeitsprüfung“



# Rangfolge Bewertungskriterien?

Suche  
nach X

- **Nutzen**  
Guter Nutzenbeleg sticht nicht fehlende Notwendigkeit  
Guter Nutzenbeleg sticht nicht zwingend schlechte  
Wirtschaftlichkeit (abhängig von Notwendigkeit und  
verfügbarer Behandlungsalternativen)  
**Fehlender Nutzenbeleg ≠ Fehlender Nutzen**  
**Nutzenbeleg allein kein führendes Merkmal**
- **Notwendigkeit**  
Hohe Behandlungsnotwendigkeit mindert  
Anforderungen an Erkenntnissicherheit (guten  
Nutzenbeleg) (z.B. *Ebolavirusinfektion*)  
Hohe Behandlungsnotwendigkeit mindert  
Anforderungen an gute Wirtschaftlichkeit  
**Notwendigkeit am ehesten führendes Merkmal**  
⇒ *Behandlungsnotwendigkeit eng mit zu erwartendem  
Nutzen verbunden*
- **Wirtschaftlichkeit**  
Gute Wirtschaftlichkeit nur bei bestehender  
Notwendigkeit von Relevanz  
**Wirtschaftlichkeit allein kein führendes Merkmal, eher  
zuletzt zu prüfen**

# Notwendigkeit

## Patientenperspektive

- **Relevanz der medizinischen Problematik**

(z.B. Dauer Erkrankung, Beeinträchtigung Lebensqualität, Belastung (Standardbehandlung, Schmerzen, Mobilität))

- **Verlauf und Behandelbarkeit der Erkrankung**

(z.B. Prognose, verfügbare Standard- und Ausweichtherapien)

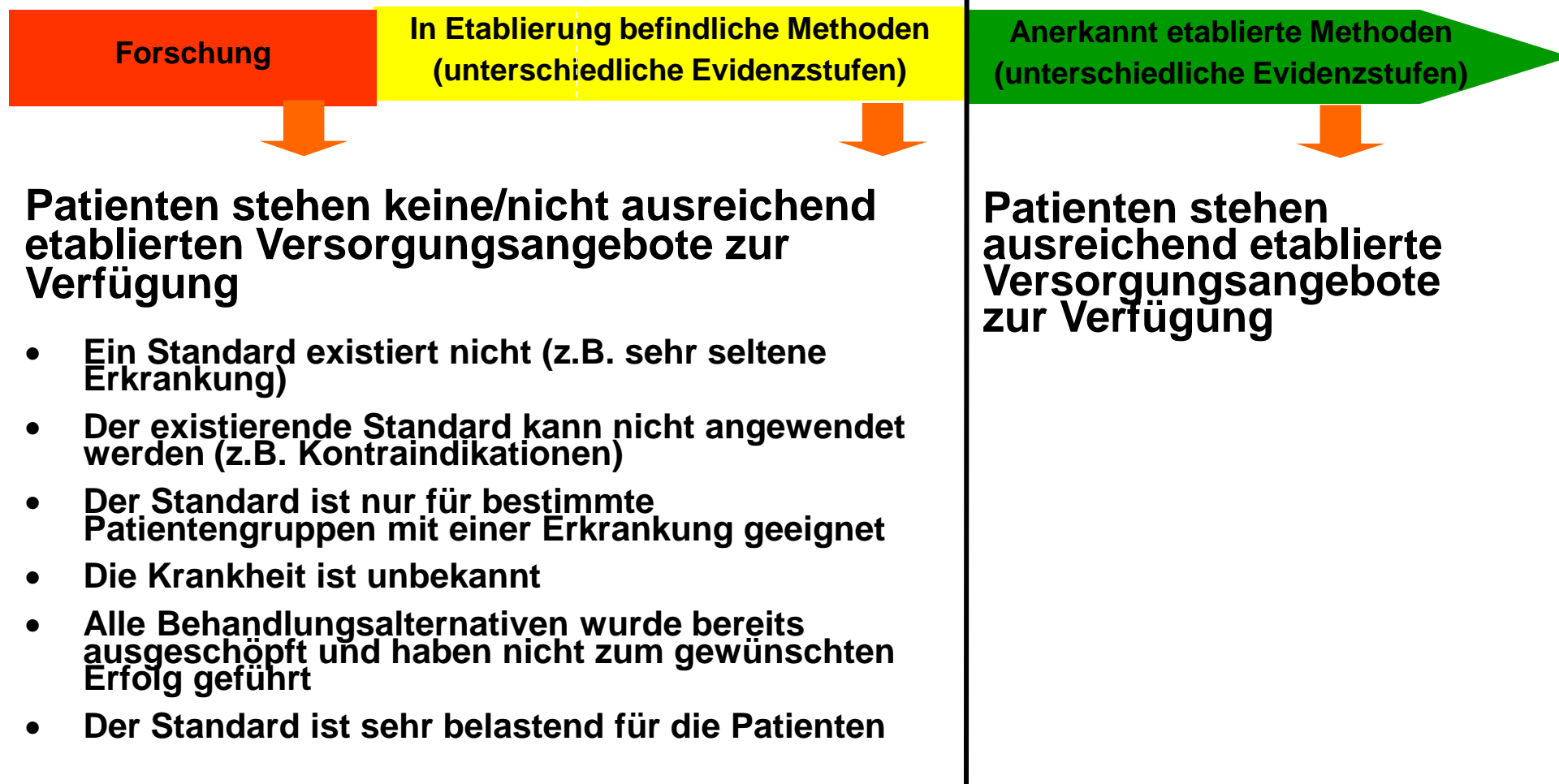
- **Vergleich mit diagnostischen und therapeutischen Alternativen (Nutzen)**

(z.B. Erkenntnissicherheit zur Prüfmethode und Alternativen, Zielstellung der Behandlung (Heilung, Linderung), Ersatzverfahren)

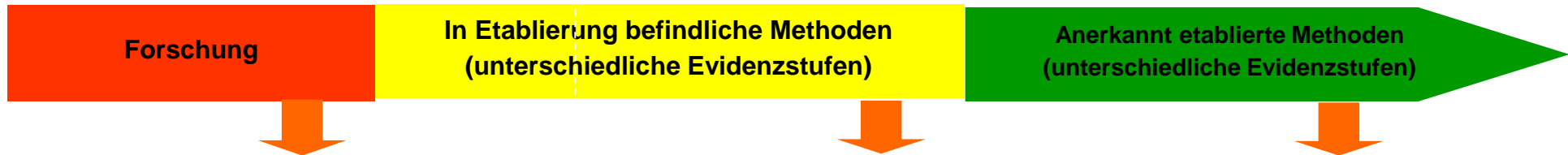
- **Anforderungen an die Versorgung spezifischer Patientengruppen**

(z.B. Kontraindikationen bei Standard und Alternativverfahren, seltene oder unbekannte Erkrankung, Ausschöpfung von Alternativen)

## Notwendigkeit zur Anwendung innovativer Leistungen



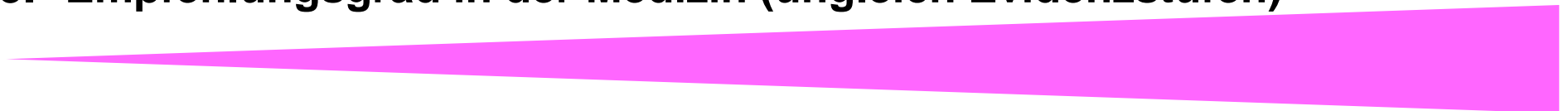
## 1. Verfügbarkeit und Anerkennungsgrad medizinischer Leistungen



## 2. Erkenntnissicherheit (ungleich Risiko einer Methode)



## 3. Empfehlungsgrad in der Medizin (ungleich Evidenzstufen)



## 4. Intensität der Patientenaufklärung/Risikobereitschaft Patient



**Prognose und  
Behandelbarkeit**



**Belastung/  
Einschränkung  
Lebensqualität**

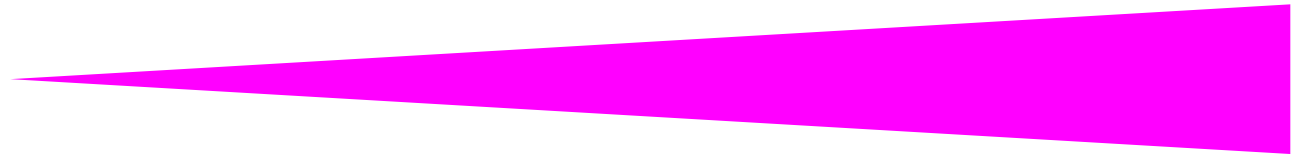


**Verfügbarkeit / Nutzen-  
beleg angemessener  
Behandlungsalter-  
nativen**

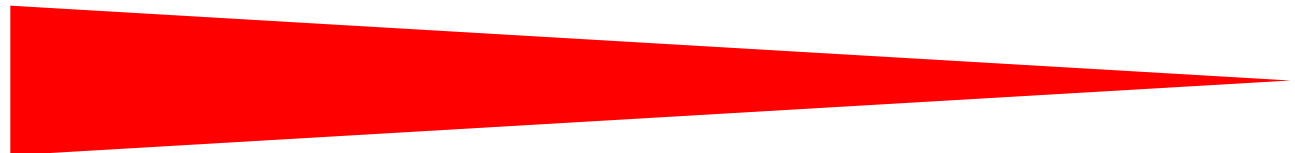


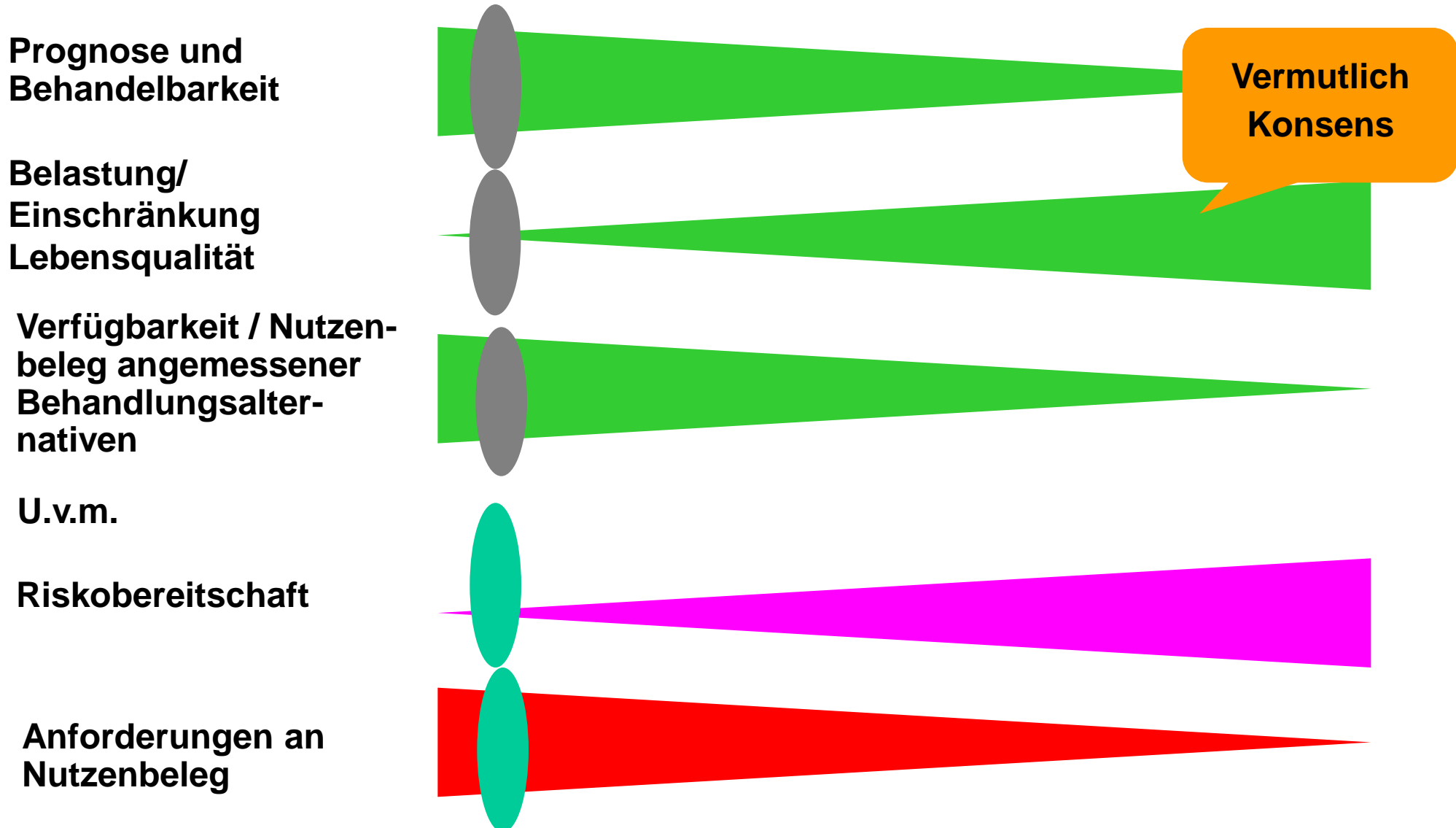
**U.v.m.**

**Riskobereitschaft**



**Anforderungen an  
Erkenntnissicherheit/  
Nutzenbeleg**







Prognose und  
Behandelbarkeit

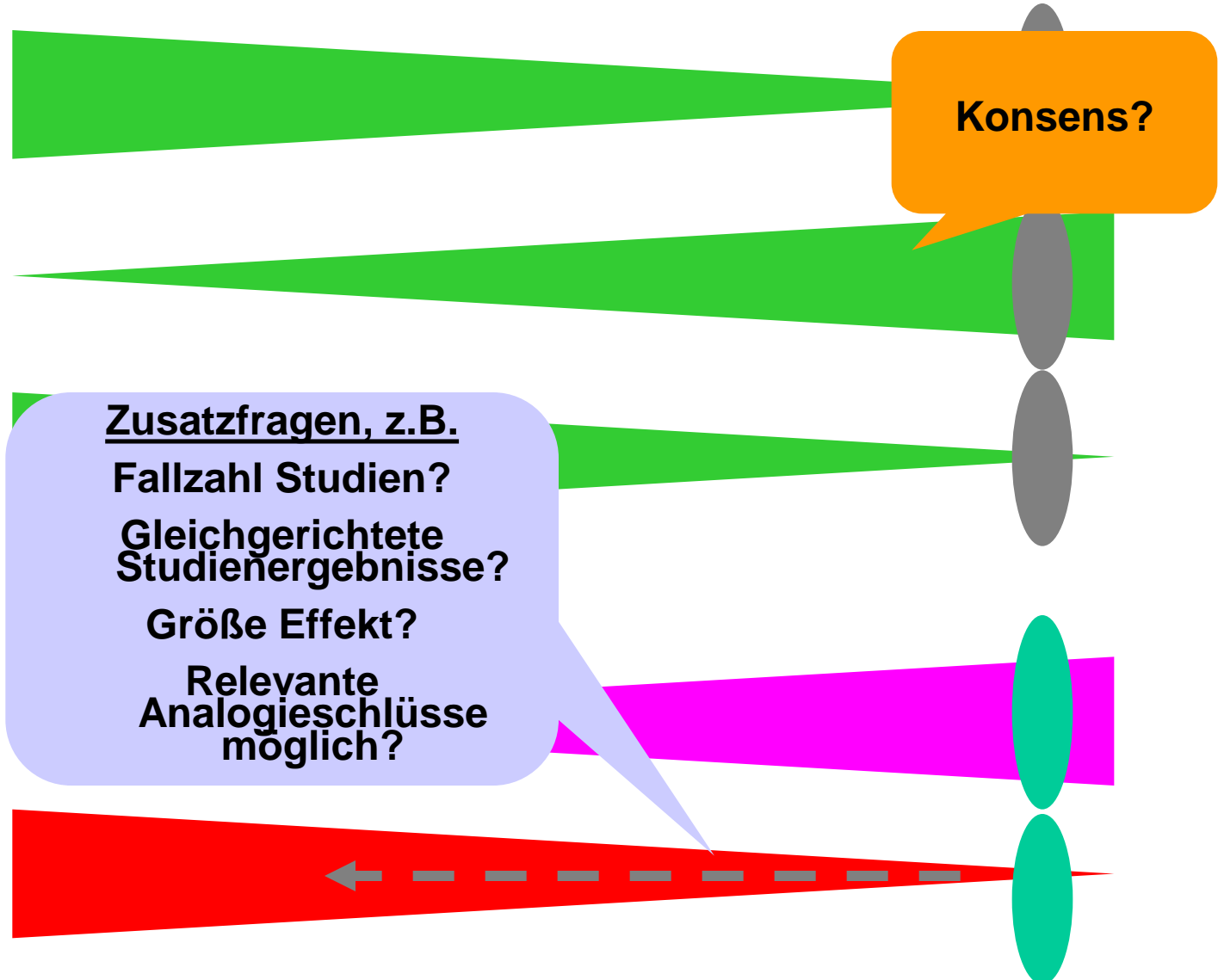
Belastung/  
Einschränkung  
Lebensqualität

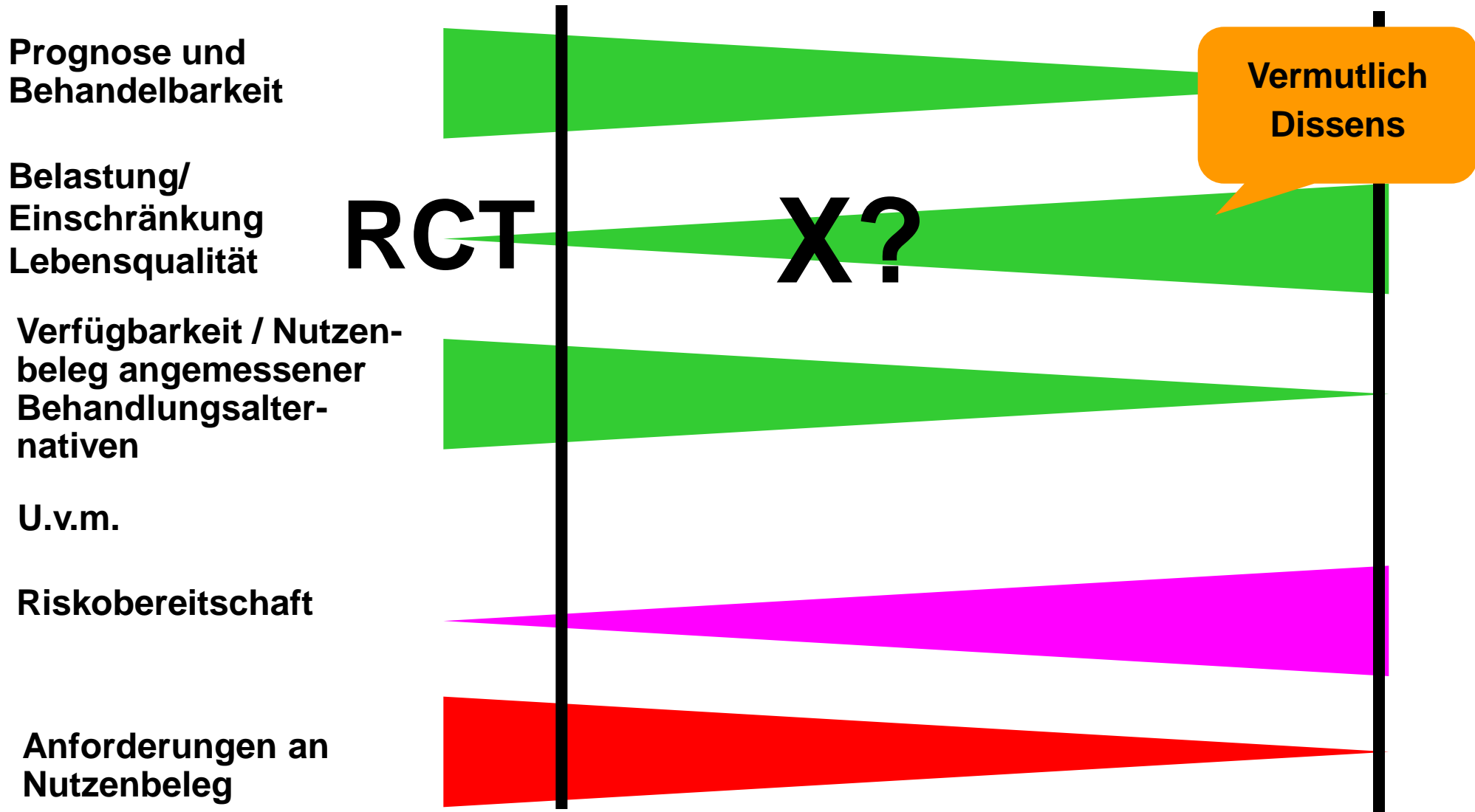
Verfügbarkeit / Nutzen-  
beleg angemessener  
Behandlungsalter-  
nativen

U.v.m.

Riskobereitschaft

Anforderungen an  
Nutzenbeleg





# X als Korridor

- **Je weniger Behandlungsbedürftigkeit (im Sinne guter Prognose), desto höher die Anforderungen an die Erkenntnissicherheit**
- **Je belastender (im Sinne Einschränkung der Lebensqualität) oder auswegloser (im Sinne unzureichender oder fehlender Behandlungsalternativen), desto geringer die Anforderungen an die Erkenntnissicherheit (im Sinne absteigender, nicht niedrigster Evidenz) (hier explizit nicht „alles was geht“ gemeint)**
- **Je höher die Risiken der Behandlungsalternativen gegenüber der Prüfmethode desto geringer die Anforderungen an die Erkenntnissicherheit**
- **Je geringer der zu erwartende Nutzen einer Leistung desto höher die Anforderungen an die Erkenntnissicherheit**
- **uvm.**

Prognose und  
Behandelbarkeit

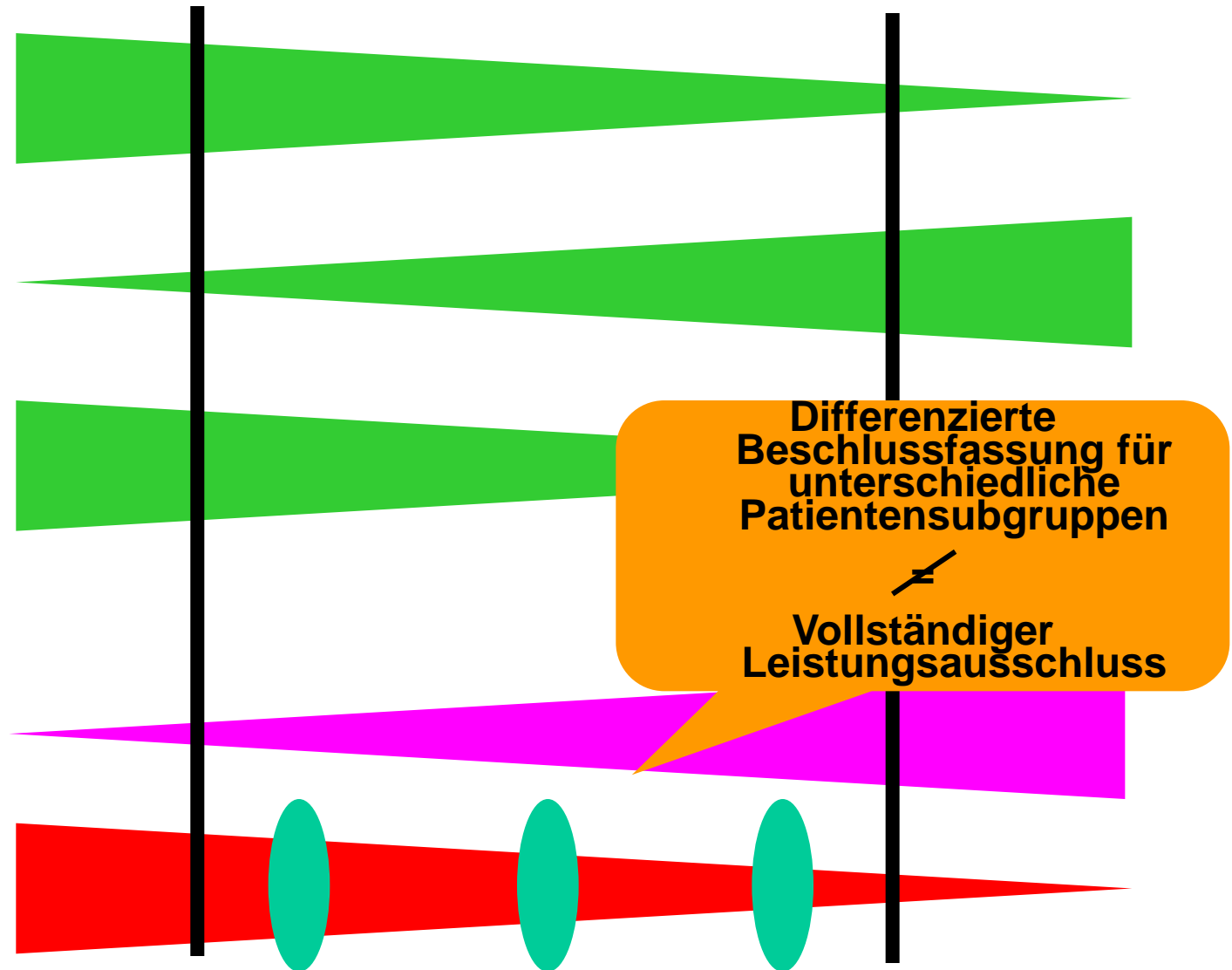
Belastung  
Einschränkung  
Lebensqualität

Verfügbarkeit / Nutzen-  
beleg angemessener  
Behandlungsalter-  
nativen

U.v.m.

Riskobereitschaft

Anforderungen an  
Nutzenbeleg



# Annahmen

**Vermutlich  
Dissens**

- **Prüfmethode (neue Leistung) bedarf nicht grundsätzlich besserer Erkenntnissicherheit als bisher angewandte Verfahren**
- **Prüfmethode muss nicht zwingend einen Zusatznutzen aufweisen (Zusatznutzen gilt nur für Arzneimittel)**
- **Leichter für Ärzte zu handhabendes Verfahren kann auch Nutzen darstellen**
- **Prüfmethode kann als Ersatzverfahren für kontraindizierten Standard auch geringeren Nutzen aufweisen, wenn ansonsten keine Behandlungsalternative besteht**
- **Diagnostische Verfahren dienen nicht ausschließlich der Therapieanpassung (z.B. Patientenaufklärung über Ausprägung Erkrankung, Erkenntnisgewinn bei nicht belastenden Verfahren)**
- **uvm.**

- **Einheitliches und ausschließlich auf Evidenzstufen ausgerichtetes X ist nicht sachgerecht. Differenzierte Abwägung steht im Einklang mit gesetzlichen Vorgaben**
- **Medizinisch fachliche Expertise für Abwägungsprozess unerlässlich um Gesamtversorgungssituation sachgerecht einschätzen zu können**
- **Konsens, dass die Verfügbarkeit medizinisch wissenschaftlicher Erkenntnisse verbessert werden muss. Erprobungsregelung daher wichtiger Schritt in die richtige Richtung**
- **Unterstützung der Ärzteschaft beim sachgerechten Innovationseinsatz**
- **Der frühe Zugang zu Innovationen muss für die Patienten erhalten bleiben. Daher paralleler studienbasierter Erkenntnisgewinn zur Patientenversorgung erforderlich**

**Herzlichen Dank für  
Ihre Aufmerksamkeit**