

Gesundheitsökonomische Evaluation im Gesundheitswesen

Akzeptanz von Kosten-Nutzwert-Analysen

Gesundheitspolitisches Kolloquium,
Sommersemester 2007
3. Juli 2007

Prof. Dr. Heinz Rothgang

Vorbemerkung

- Ursprüngliche Dramaturgie des Kolloquiums
 - Schöffski: Grundlagen der ökonomischen Evaluation
 - Wasem: Methodische Fragen der Kosten-Nutzwertanalyse
 - Lauterbach: Perspektive der Gesundheits*politik*
 - Sawicki: Die Sichtweise des IQWiG
- Stattdessen:
 - Wasem: Konflikt zwischen Gesundheitsökonomen und IQWiG
 - Lauterbach muss absagen

⇒ Was kann das Thema des heutigen Abends sein?

Meine Antwort: **Akzeptanz** von Kosten-Nutzwert-Analysen

Übersicht

- I. Die Rolle der ökonomischen Evaluation in der deutschen Gesundheitspolitik nach dem GKV-WSG
- II. Der Methodenstreit zwischen IQWiG und den deutschen GesundheitsökonomInnen
- III. Erfahrungen aus dem Ausland
 1. Das National Institute for Health and Clinical Excellence (NICE)
 2. Der Oregon Health Plan (OHP)
- IV. Der Anteil der Analyseform an vorhandenen Akzeptanzproblemen

Auftrag an das IQWiG vor dem GKV-WSG

- Stationäre und ambulante Versorgung

§ 139a Abs. 3 SGB V: „Das Institut wird zu Fragen von grundsätzlicher Bedeutung für die Qualität und Wirtschaftlichkeit der im Rahmen der gesetzlichen Krankenversicherung erbrachten Leistungen [...] tätig.“

→ **Kosten-Nutzen-Bewertung, aber Möglichkeit wird nicht genutzt**

- Arzneimittelversorgung

§ 139a Abs. 3 Ziffer 5 SGB V: „Bewertung des Nutzens von Arzneimitteln.“

§ 35b SGB V: „Das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen bewertet bei Beauftragung nach § 139b Abs. 1 und 2 den Nutzen von Arzneimitteln.“

→ **Nutzenbewertung**

Auftrag an das IQWiG seit dem GKV-WSG

- Stationäre und ambulante Versorgung: unverändert
 - Arzneimittelversorgung
 - § 31 Abs. 2a SGB V i.d.F. des GKV-WSG verpflichtet den Spitzenverband Bund, für nicht festbetragsfähige Arzneimittel, für die es therapeutische Alternativen gibt, Höchstbeträge aufgrund einer Bewertung nach § 35b Abs. 1 Satz 3 SGB V festzusetzen
 - § 35b SGB V: „Das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen kann nach § 139b Abs. 1 und 2 beauftragt werden, den Nutzen **oder das Kosten-Nutzen-Verhältnis** von Arzneimitteln zu bewerten.“
 - § 139a III Ziffer 5 SGB V: [Das Institut wird ... auf folgenden Gebieten tätig:] „Bewertung des Nutzens **und der Kosten** von Arzneimitteln.“
- **Kosten-Nutzen-Bewertung im weiteren Sinn**

Zur Methodik dieses Auftrags:

- § 35b Abs. 1 Satz 5 SGB V :

Das Institut bestimmt auftragsbezogen über die Methoden und Kriterien für die Erarbeitung von Bewertungen nach Satz 1 auf der Grundlage der in den jeweiligen Fachkreisen anerkannten internationalen Standards der evidenzbasierten Medizin und der Gesundheitsökonomie.

Übersicht

- I. Die Rolle der ökonomischen Evaluation in der deutschen Gesundheitspolitik nach dem GKV-WSG
- II. Der Methodenstreit zwischen IQWiG und den deutschen Gesundheitsökonomien
 1. Evidenzbasierte Medizin oder Gesundheitsökonomie?
 2. Datenquelle: RCT und/oder naturalistisches Studiendesign?
 3. Zeithorizont: RCT und/oder Modellierung?
 4. Perspektive der Evaluation: Kostenträger und/oder Gesellschaft?
 5. Analyseform: Die Rolle von QALYs
 6. Kompetenzverteilung: Rolle des IQWiG
- III. Erfahrungen aus dem Ausland
- IV. Der Anteil der Analyseform an vorhandenen Akzeptanzproblemen

Rechtliche Normierung

- § 139a (4) SGB V (alt)

Das Institut hat in regelmäßigen Abständen über die Arbeitsprozesse und –ergebnisse einschließlich der Grundlagen für die Entscheidungsfindung öffentlich zu berichten.

- § 139a (4) SGB V in der ursprünglichen Fassung des GKV-WSG

*Das Institut hat zu gewährleisten, dass es seine Aufgaben auf Basis international üblicher und akzeptierter **Standards der evidenzbasierten Medizin** erfüllt. Es hat in regelmäßigen Abständen über die Arbeitsprozesse und -ergebnisse einschließlich der Grundlagen für die Entscheidungsfindung öffentlich zu berichten.*

II.1 EBM oder Gesundheitsökonomie (2/3)

- Problem: Gegenstand von EBM ist Nutzenbewertung, nicht: Kostenerhebung oder Kosten-Nutzen-Relation
- Gesundheitsökonomischer Ausschuss des Vereins für Sozialpolitik: Stellungnahme
 - Für Kosten-Nutzen-Bewertung kann nur die Gesundheitsökonomie Standards bereitstellen
 - Über den Bundesrat wurde diese Korrektur ins Gesetz geschleust
- Konsequenz: § 139a Abs. 4 Satz 1 SGB V (aktuell)

*Das Institut hat zu gewährleisten, dass die Bewertung des medizinischen Nutzens nach den international anerkannten Standards der evidenzbasierten Medizin und **die ökonomische Bewertung nach den hierfür maßgeblichen international anerkannten Standards, insbesondere der Gesundheitsökonomie erfolgt.***

II.1 EBM oder Gesundheitsökonomie (3/3)

- Bewertung:
 - Grundsätzlich ist es richtig, dass auf Basis von EBM allein keine Kosten-Nutzen-Abwägung durchgeführt werden kann
=> Gesundheitsökonomische Standards sind notwendig
 - Aber: Sind gesundheitsökonomische Standards genauso weit entwickelt wie EBM? Eher nicht
 - Deshalb: Angst von Sawicki und IQWiG: Über Gesundheitsökonomische Bewertungen werden die hohen Standards von EBM aufgeweicht. Diese Befürchtung ist nicht unberechtigt.

Grundfrage: RCT und/oder naturalistisches Studiendesign?

- Grundproblem:
 - Evidenzbasierte Medizin favorisiert Erkenntnisse mit hoher Evidenz (RCTs),
 - für die gesundheitsökonomische Evaluation sind auch Aspekte relevant, die dem experimentellen Design eines RCTs nicht zugänglich sind.
- Methodenpapier 2.0 des IQWiG vom 19.12.2006 (S. 65)

*„In **Ergänzung** zu randomisierten kontrollierten Studien sind deshalb Studiendesigns notwendig, die die Übertragung der Ergebnisse auf die Versorgungsrealität sicherstellen [14]. Diese Anforderungen werden im Rahmen von so genannten **pragmatischen Studien** (pragmatic trials) erfüllt.“*

II.2 Datenquelle (2/2)

- Deutsche Empfehlungen zur gesundheitsökonomischen Evaluation – Revid. Fassung des Hannoveraner Konsens
Zum Studien mit experimentellem Design:
„Schon als Voraussetzung von ökonomischen Überlegungen sind derartige Studien zur Feststellung der medizinischen Wirksamkeit unverzichtbar.“
- GesundheitsökonomInnen nehmen Stellung zum Entwurf des Methodenpapiers V. 2.0. des IQWiG
*„Zu fordern ist daher, dass das IQWiG über klinische Studien hinaus auch **Analysen mit Sekundärdaten** für die Bewertung akzeptiert und einbezieht.“*
- Bewertung:
 - Es geht um den Stellenwert nicht randomisierter Studien
 - Grundsätzlich haben die GesundheitsökonomInnen recht, aber:
 - IQWiG fürchten - nicht zu unrecht - Aufweichung der Standards

RCT und/oder Modellierung?

- Problem:
 - Gesundheitsökonomische Evaluation will Effekte für den gesamten Lebenszyklus berücksichtigen, klinische Studien haben einen kürzeren Zeithorizont
 - Mögliche Lösung: Modellierung der Langfristeffekte basierend auf probabilistischen Annahmen (z.B. Markov-Prozesse)
- Methodenpapier 2.0 des IQWiG vom 19.12.2006 (S. 66)

*„Entscheidungsanalytische Modelle sind **nicht als Substitut** zur Erlangung verlässlicher Evidenz für den Nutznachweis zu betrachten [1, 14, 15]. Klinische Studien stellen jedoch nicht immer alle notwendigen Daten zur Verfügung, die für eine vollständige ökonomische Evaluation benötigt werden.“*

II.3 Zeithorizont (2/3)

- GesundheitsökonomInnen nehmen Stellung zum Entwurf des Methodenpapiers V. 2.0. des IQWiG

*„Das Methodenpapier des IQWiG möchte Modellierungen hingegen „lediglich eine **unterstützende Funktion**“ zuweisen.“*

[...]

*„Zu fordern ist daher, dass das IQWiG Modellierungen als **eigenständige Methode** zur Generierung des notwendigen Wissens über die Kosten-Effektivität akzeptiert.“*

II.3 Zeithorizont (3/3)

- **Bewertung:**
 - Grundsätzlich: Gesundheitsökonomische Bewertung sollte sich auf Lebenszyklus beziehen
 - Modellierungen sind der einzige Weg dies zu berücksichtigen und international weit verbreitet
 - Aber:
 - Wenn die Kosten initial anfallen, die Nutzen hingegen in der Zukunft, verbessert eine solche Perspektive die Nutzen-Kosten-Relation der untersuchten health technology
=> Hersteller sind daran interessiert, Modellierungen einen stärkeren Wert beizumessen
 - Modellierungen sind anfällig für Manipulationen. Das IQWiG befürchtet von den ökonomisch potenteren Pharmaherstellern überrollt zu werden
 - nicht zu unrecht.

Kostenträger und/oder Gesellschaft?

- **Ausgangspunkt:**

Die Perspektive bestimmt, welche Kosten- und Nutzenkomponenten in die Analyse Eingang finden und ist somit maßgeblich für das Ergebnis.

- **Konsens:**

Die Wahl der Perspektive muss nachvollziehbar und transparent geschehen.

- **Konflikt:**

„Gute gesundheitsökonomische Praxis“ konfligiert mit der Gebundenheit des IQWiG an den Auftraggeber G-BA.

II.4 Perspektive (2/4)

- Methodenpapier 2.0 des IQWiG vom 19.12.2006 (S. 64)

*„Gemäß seines Auftrags nach § 139a Abs. 3 SGB V wird das IQWiG zu Fragen von grundsätzlicher Bedeutung für die Qualität und die Wirtschaftlichkeit der im Rahmen der GKV erbrachten Leistungen tätig. Für die gesetzliche Aufgabenstellung des IQWiG nimmt die Kostenbetrachtung aus der **Perspektive der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV)** deshalb eine besondere Stellung ein [9].*

[...]

*Über die GKV-Perspektive hinaus wird das Institut in Abhängigkeit von der Fragestellung die für eine Bewertung der Wirtschaftlichkeit geeignete Perspektive wählen. So **kann** es z.B. sinnvoll sein bei der Bewertung von Interventionen, die sich auf Rehabilitation, Pflegebedürftigkeit oder Arbeitsunfähigkeit auswirken, von der Perspektive des Sozialversicherungsträgers oder von einer gesamtgesellschaftlichen Perspektive auszugehen.“*

II.4 Perspektive (3/4)

- Deutsche Empfehlungen zur gesundheitsökonomischen Evaluation – Revidierte Fassung des Hannoveraner Konsens

*„Neben der **gesellschaftlichen/volkswirtschaftlichen Perspektive**, die den umfassendsten Ansatz darstellt, sind andere Perspektiven möglich (z.B. Sichtweise der Krankenkassen, Krankenhausverwaltungen, Ärzte, Patienten.)“*

- GesundheitsökonomInnen nehmen Stellung zum Entwurf des Methodenpapiers V. 2.0. des IQWiG

„Zu fordern ist daher, dass das IQWiG regelhaft neben der GKV-Perspektive auch die gesellschaftliche Perspektive in seinen ökonomischen Analysen berücksichtigt. Zumindest ist die Einnahme einer Sozialversicherungsperspektive zu fordern.“

Kostenträger und/oder Gesellschaft?

- Bewertung:
 - Grundsätzlich ist die Forderung plausibel, immer auch die gesellschaftliche Perspektive zu berücksichtigen
 - Wenn insbesondere externe Nutzen anfallen, führt die Berücksichtigung der gesellschaftlichen Perspektive zu einer besseren Nutzen-/Kosten-Relation
- Konsequenz:

Ein „und“ ist möglich, muss aber durch gesetzliche Lösungsstrategien für den Fall eines gordischen Knotens (G-BA muss über eine Maßnahme entscheiden, die die Gesellschaft insgesamt *ent-*, die GKV aber *belastet*) ergänzt werden.

Grundprinzip der Gesundheitsökonomischen Evaluation

$$(Inkrementelle) \text{ Kosten} - \text{Effektivität} = \frac{\Delta \text{Kosten}}{\Delta \text{outcome}}$$



Ansatzpunkt
unterschiedliche
Analyseformen

Analyseformen

- Kosten-Wirksamkeits-Analyse

$$CEA: \frac{\Delta \text{Kosten}}{\Delta \text{natürlicher Parameter}}$$

- Kosten-Nutzwert-Analyse

$$CUA: \frac{\Delta \text{Kosten}}{\Delta \text{Nutzwert}}$$

- Kosten-Nutzen-Analyse

$$CBA: \frac{\Delta \text{Kosten}}{\Delta \text{monetärer Nutzen}}$$

II.5 Die Rolle von QALYs (3/8)

- Die Wahl der Analyseform bestimmt die Einheiten, in denen das outcome erfasst wird und damit die Aussagekraft und Vergleichbarkeit der Ergebnisse.
- Konsens:
Die Kosten werden monetär erfasst.
- Konflikt:
Die Erfassung des/der outcomes.

II.5 Die Rolle von QALYs (4/8)

Methodenpapier 2.0 des IQWiG vom 19.12.2006 (S. 67) zu Kosten-Nutzwert-Analyse und qualitätsadjustierten Lebensjahren:

„Dieser zunächst plausibel anmutende Ansatz erweist sich bei eingehender Betrachtung als nicht widerspruchsfrei und hat bisher für eine anhaltende Debatte über seine theoretischen und praktischen Probleme gesorgt.“

*„Die **Verwendung von QALYs** als ein virtuelles Einheitsmaß zur Beschreibung gesundheitlicher Ergebnisse ist als unzulänglich zu bewerten und **sollte nicht als Entscheidungsgrundlage** herangezogen werden. Auch Institutionen, die QALYs als ein Maß der Kosten-Nutzen-Bewertung verwenden, sind sich deren methodischen Unzulänglichkeiten bewusst.“*

II.5 Die Rolle von QALYs (5/8)

Stellungnahme der Gesundheitsökonominnen zum IQWiG-Papier:

Nutzwerte

Die Durchführung von Kosten-Nutzwert-Studien, in denen die Nutzwerte über qualitätsadjustierte Lebensjahre (QALYs) auf der Basis von Patientenpräferenzen erhoben werden, ist internationaler gesundheitsökonomischer Standard und wird von Evaluationsagenturen (z.B. NICE) wo möglich eingefordert. Das Methodenpapier des IQWiG lehnt die „bisher angewandten Verfahren zur Erfassung von Patientenpräferenzen“ wegen „bislang ungelöster methodischer Probleme“ ab. Es verweist hierbei insbesondere auf „die Übertragbarkeit individueller Präferenzen auf ein Gesamtkollektiv“, was „ethisch wie auch methodisch“ kritisch sei. „Aggregierte individuelle Präferenzen“ will das IQWiG daher nicht berücksichtigen.

Diese Argumentation ist unverständlich: Die Aggregation der von bei Individuen erhobenen Werte ist zentraler Bestandteil jeder klinischen Studie und auch (unabhängig von der Art des Outcomes) zentral für jede gesundheitsökonomische Analyse. Individuelle Präferenzen bilden hier keinen Sonderfall, der die Ablehnung von Studien dieses Typs rechtfertigen würde. Vielmehr liefert eine Bewertung der Gesamteffekte einer Intervention durch die QALYs einen methodisch transparenten und standardisierten Indikator - im Kontrast zu den verfahrensmäßig nicht festgelegten Gesamturteilen, die das IQWiG-Institut über die zahlreichen in seinen Studienplänen genannten Kriterien zur Nutzenbewertung von Arzneimitteln hinweg fällt.

II.5 Die Rolle von QALYs (6/8)

Forts.: Stellungnahme der Gesundheitsökonominnen zum IQWiG-Papier:

Im Übrigen negiert das Methodenpapier damit die Ergebnisse der intensiven ökonomischen Lebensqualitätsforschung, die aufzeigt, unter welchen Bedingungen die Aggregation sowohl methodisch wie ethisch zulässig ist. Daraus, dass Experten sich kritisch mit den von ihnen mit entwickelten und verwendeten Methoden kritisch auseinandersetzen darf nicht auf die Untauglichkeit der Methoden geschlossen werden.

Zu fordern ist daher, dass Kosten-Nutzwert-Studien, in denen QALYs mit den international üblichen Methoden erhoben werden, vom IQWiG zugelassen werden. In den Studien muss die Methode, mit denen die Nutzwerte generiert werden, transparent beschrieben werden.

II.5 Die Rolle von QALYs (7/8)

Methodenpapier 2.0 des IQWiG vom 19.12.2006 (S. 67)

- **Konkrete Kritikpunkte**
 - Abhängigkeit von der Erhebungsmethode für Lebensqualität (z.B. Time Trade-Off, Standard Gamble, Fragebogen): Verschiedene Erhebungsmethoden führen zu unterschiedlichen Ergebnissen
 - Übereinstimmung mit den tatsächlichen individuellen und sozialen Präferenzen ist nicht gegeben (Beispiel: Oregon)
 - Den zugrundeliegende Annahmen: Rationalität, Addierbarkeit, Aggregierbarkeit sind problematisch
 - Konflikte mit Verteilungs- und Zugangsgerechtigkeit
- **Bewertung:**
 - Kritik ist im Wesentlichen berechtigt.
 - Aber: was ist die Alternative? IQWiG will letztlich gar nicht ran.

II.5 Die Rolle von QALYs (8/8)

- Methodenpapier 2.0 des IQWiG vom 19.12.2006 (S. 67)

*Wenn mehrere alternative Vorgehensweisen im Hinblick auf einen standardisierten Behandlungserfolge vorliegen, sollte eine **Kosten-Wirksamkeits-Analyse** (Cost-Effectiveness Analysis) durchgeführt werden. Kosten-Minimierungs-Analysen (Cost-Minimization Analysis) sollten durchgeführt werden, wenn gezeigt werden kann, dass die betrachteten Alternativen zu den gleichen medizinischen Ergebnissen führen [13].“*

=>Das IQWiG will die Kosten-Nutzen-Bewertung letztlich – traditionell – beschränken und nur dann heranziehen, wenn zwei Interventionen verglichen werden, die auf die gleiche Zielgröße abzielen.

=>Damit wird es seinem Auftrag nicht gerecht.

II.6 Die Rolle des IQWiG (1/3)

Institutionelle Grundlagen: Das IQWiG

- wurde 2004 gegründet 2004 (GKV-Modernisierungsgesetz)
- hat keine eigene Entscheidungskompetenz
 - Die Kompetenz zur Festsetzung des Leistungskatalogs bleibt beim gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA), der an die IQWiG-Ergebnisse nicht gebunden ist.
- wird tätig im Auftrag des G-BA
 - Kein etabliertes „horizon scanning“
 - begrenzte Mitwirkungsmöglichkeiten für Betroffene (Patientenvertreter haben ein Antragsrecht im Hinblick auf die Beauftragung)

II.6 Die Rolle des IQWiG (2/3)

- Wer soll das methodische Vorgehen bestimmen:
 - IQWiG?
 - G-BA als Auftraggeber?
 - Gesetzgeber?
 - der „internationale Standard“?
- GesundheitsökonomInnen nehmen Stellung zu den Pharmako-ökonomischen Regelungen in der Kabinettsvorlage des GKV-WSG
„Grundsätzlich zu hinterfragen ist auch das (schon bisher praktizierte) Verfahren, dass das IQWiG sich seine eigenen Methoden gibt. Mit Blick auf die weitreichenden Auswirkungen der Methodenwahl ist vielmehr zu fordern, dass die Methoden, nach denen das IQWiG zu arbeiten hat, von denjenigen festgelegt werden, die die Entscheidungen des IQWiG auch umsetzen müssen – d.h. der G-BA bzw. (in den Fällen der Kosten-Nutzen-Bewertung für den Zweck nach (neu) § 31 Abs. 2a SGB V) die Spitzenverbände der gesetzlichen Krankenversicherung.“
- SGB V: IQWiG bestimmt, aber unter Berücksichtigung des „internationalen Standards“.

II.6 Die Rolle des IQWiG (3/3)

- Wer trifft die Entscheidungen?
 - Besonderes Kennzeichen von Kosten-Nutzwert-Analysen: Eine Kosten-Nutzwert-Analyse *allein* ist –anders als eine Kosten-Nutzen-Analyse– nicht aussagekräftig! Ein Schwellenwert muss bestimmt werden.
 - ⇒ Welche Kosten pro QALY halten wir für akzeptabel? Ab wann sind zusätzliche Kosten für das zusätzliche outcome (gemessen in QALYs) nicht mehr gerechtfertigt?
- § 35b weist IQWiG den Auftrag zu, die „Angemessenheit... angemessen (zu) berücksichtigen“
- Frage des „Schwellenwertes“ der Zahlungsbereitschaft der GKV für den Zusatznutzen ist ein gesellschaftspolitisch-ethische Aufgabe, die nicht originär dem IQWiG zugewiesen werden kann!
- Hier zeigt sich Novellierungsbedarf.

Übersicht

- I. Die Rolle der ökonomischen Evaluation in der deutschen Gesundheitspolitik nach dem GKV-WSG
- II. Der Methodenstreit zwischen IQWiG und den deutschen Gesundheitsökonomern
- III. Erfahrungen aus dem Ausland**
 1. Das National Institute for (Health and) Clinical Excellence (NICE)
 2. Der Oregon Health Plan (OHP)
- IV. Der Anteil der Analyseform an vorhandenen Akzeptanzproblemen

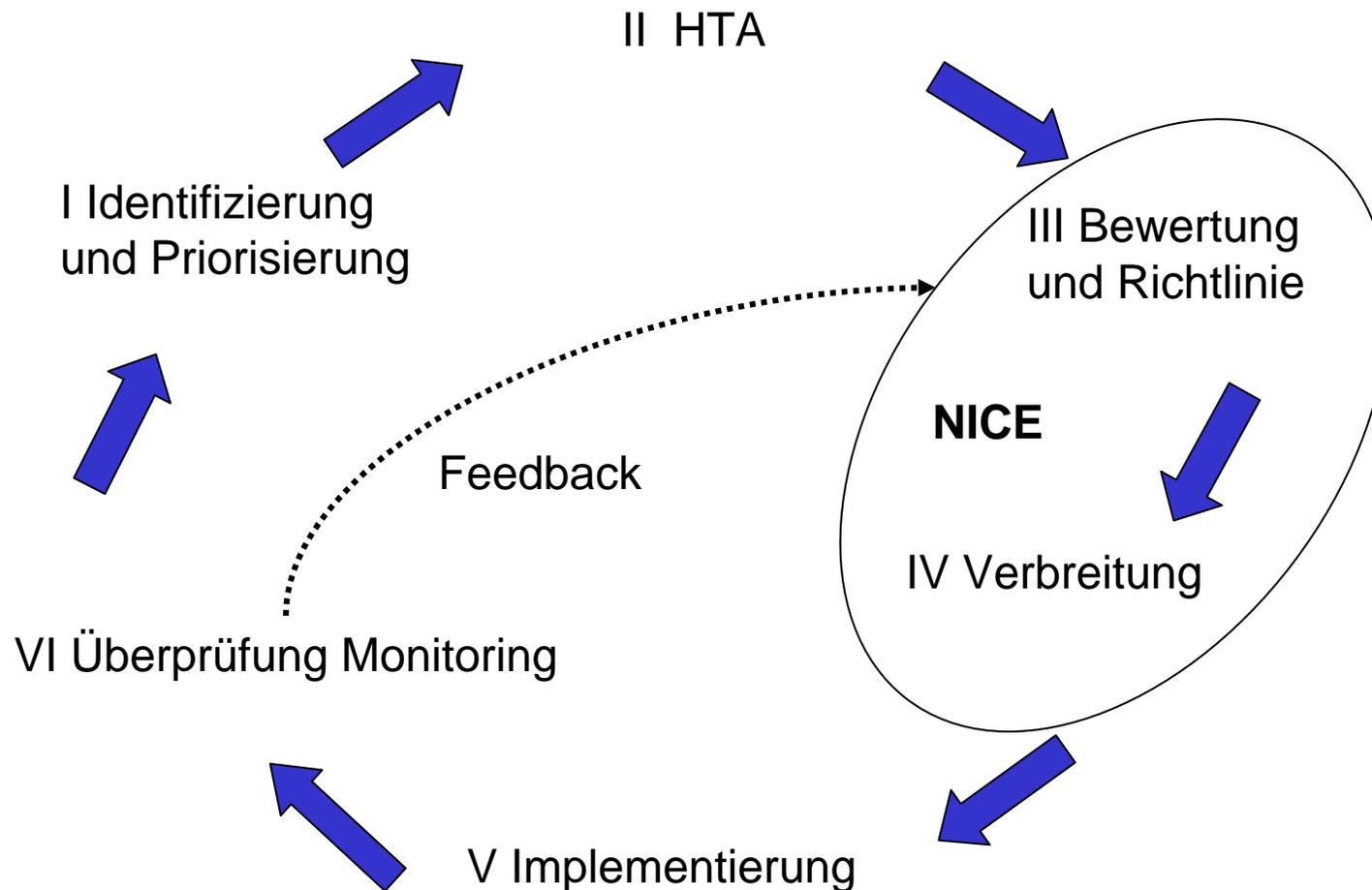
Das National Institute for (Health and) Clinical Excellence

- Institutionelle Grundlagen
- Entscheidungsprozess
- Ergebnisse von NICE-Bewertungen
- Rolle der Kosten-Effektivität
- Weitere Entscheidungskriterien
- Umstrittene Entscheidungen
- Grundproblematiken
- Lehren aus der NICE-Erfahrung

Das National Institute for (Health and) Clinical Excellence

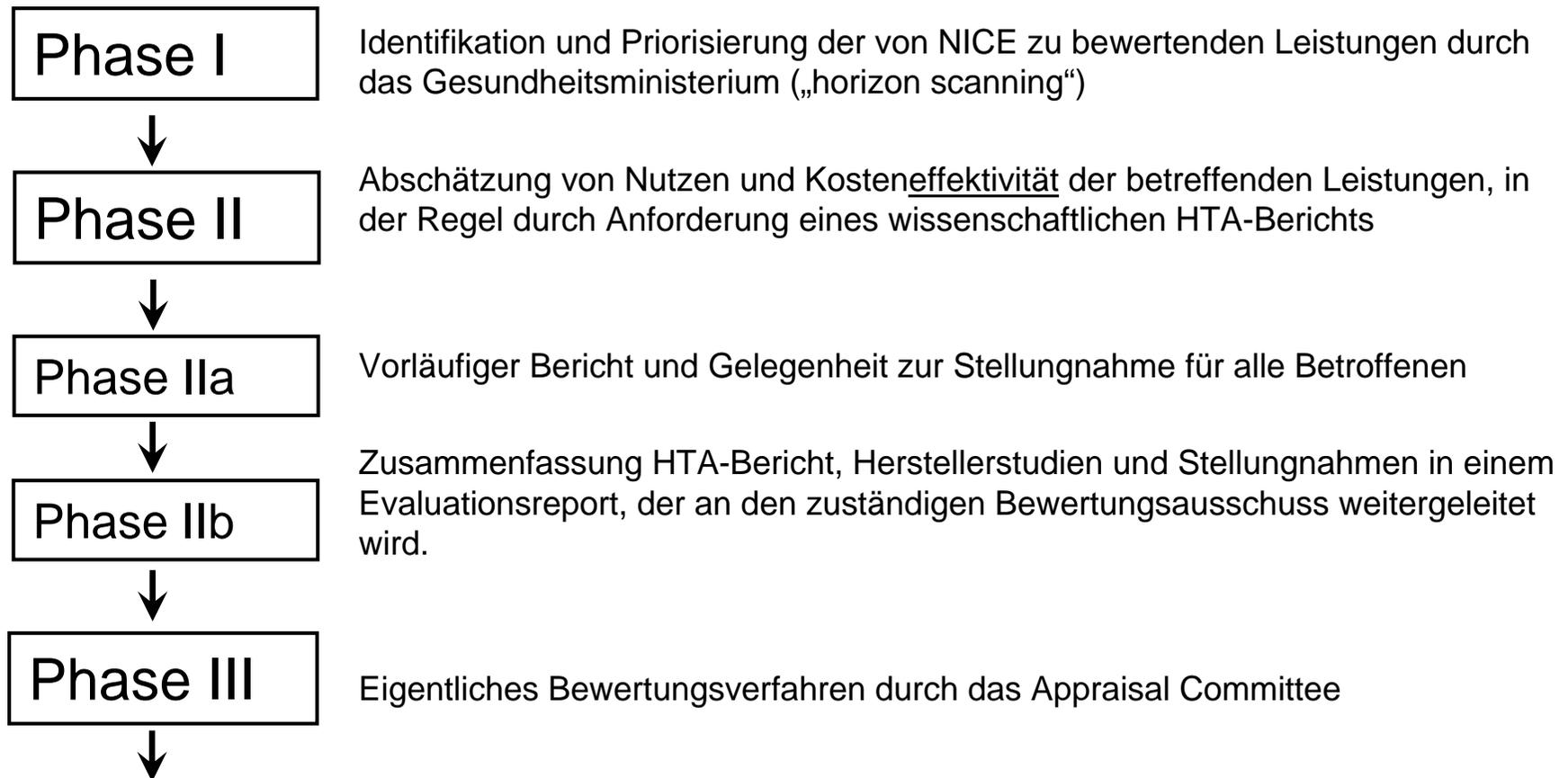
- ist das Vorbild des IQWiG
- wurde 1998/99 gegründet, weil das Fehlen eines formalen Leistungskatalogs zum Problem des „postcode prescribing“ geführt hat
- wird tätig im Auftrag des Department of Health
- greift zurück auf die HTA-Infrastruktur an Universitäten und Forschungseinrichtungen
- favorisiert Kosten-Nutzwert-Analysen (CUA) mit QALYs als Ergebnisparameter
- hat eigene und direkte Richtlinienkompetenz
Therapiefreiheit bleibt gewahrt, aber NICE-Entscheidungen („guidance“) gehen über reine, unverbindliche Empfehlungen hinaus und sind direkt gültig für den National Health Service (NHS).

Der Entscheidungsprozess im Überblick



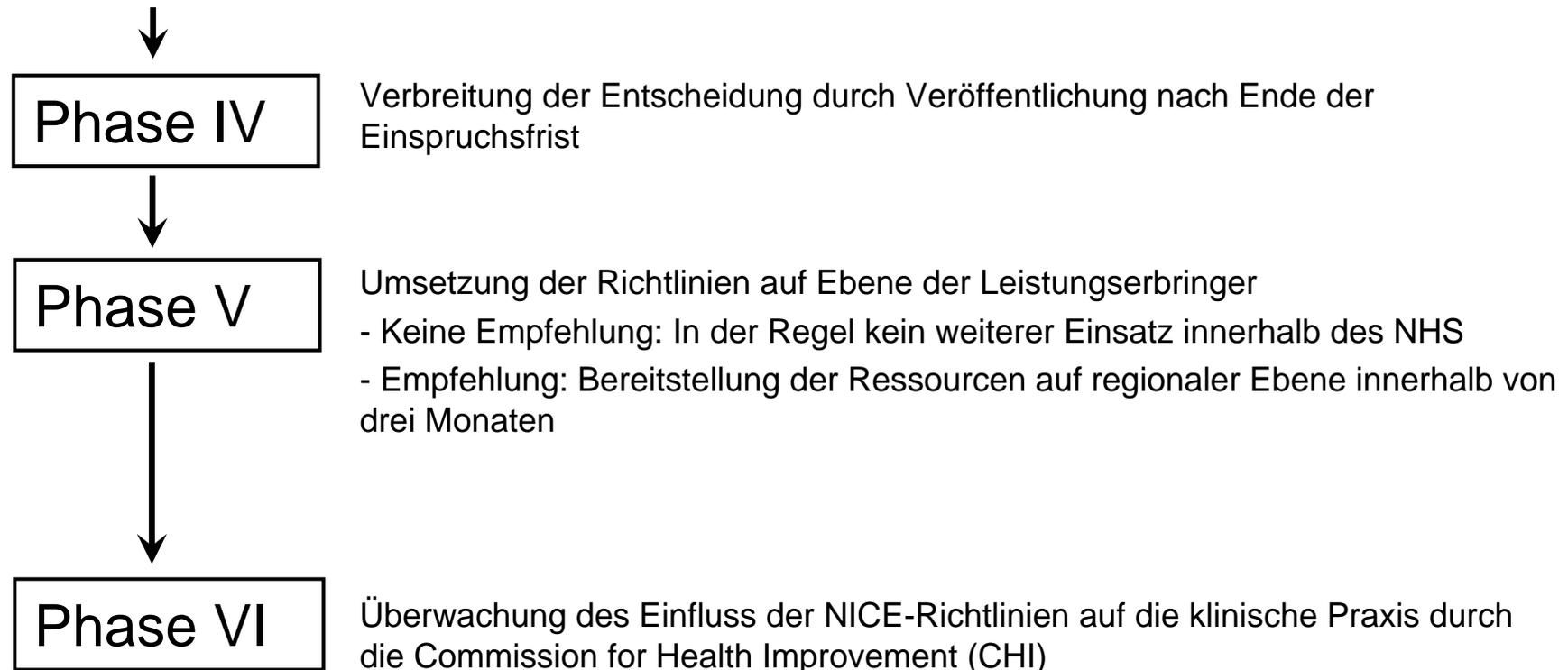
III.1 NICE: Entscheidungsprozess (2/4)

Der Entscheidungsprozess im Einzelnen (1/2)



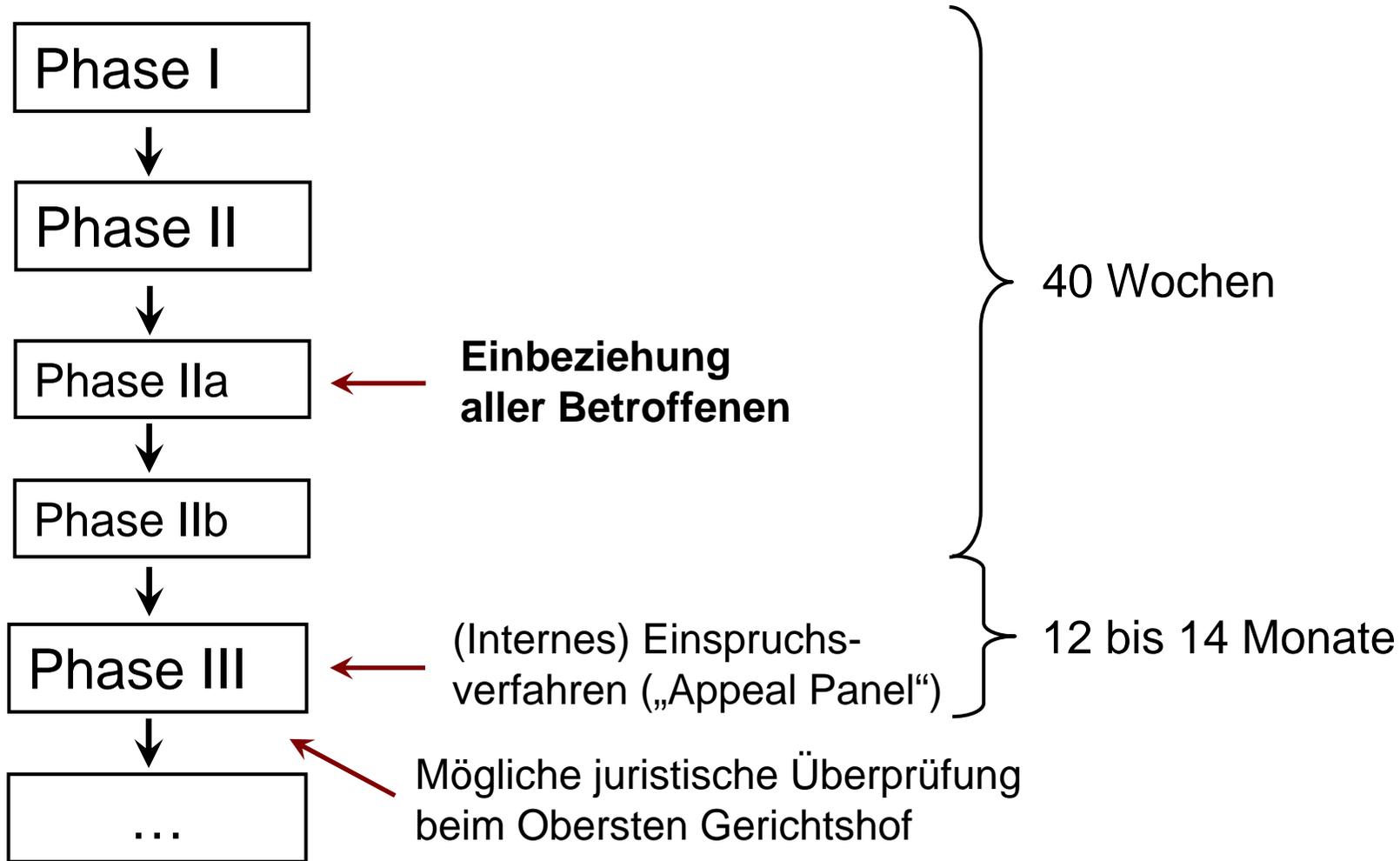
III.1 NICE: Entscheidungsprozess (3/4)

Der Entscheidungsprozess im Einzelnen (2/2)



III.1 NICE: Entscheidungsprozess (4/4)

Auseinandersetzung in der Entscheidungsfindung



III.1 NICE: Ergebnisse von NICE-Bewertungen

Recommendations of NICE

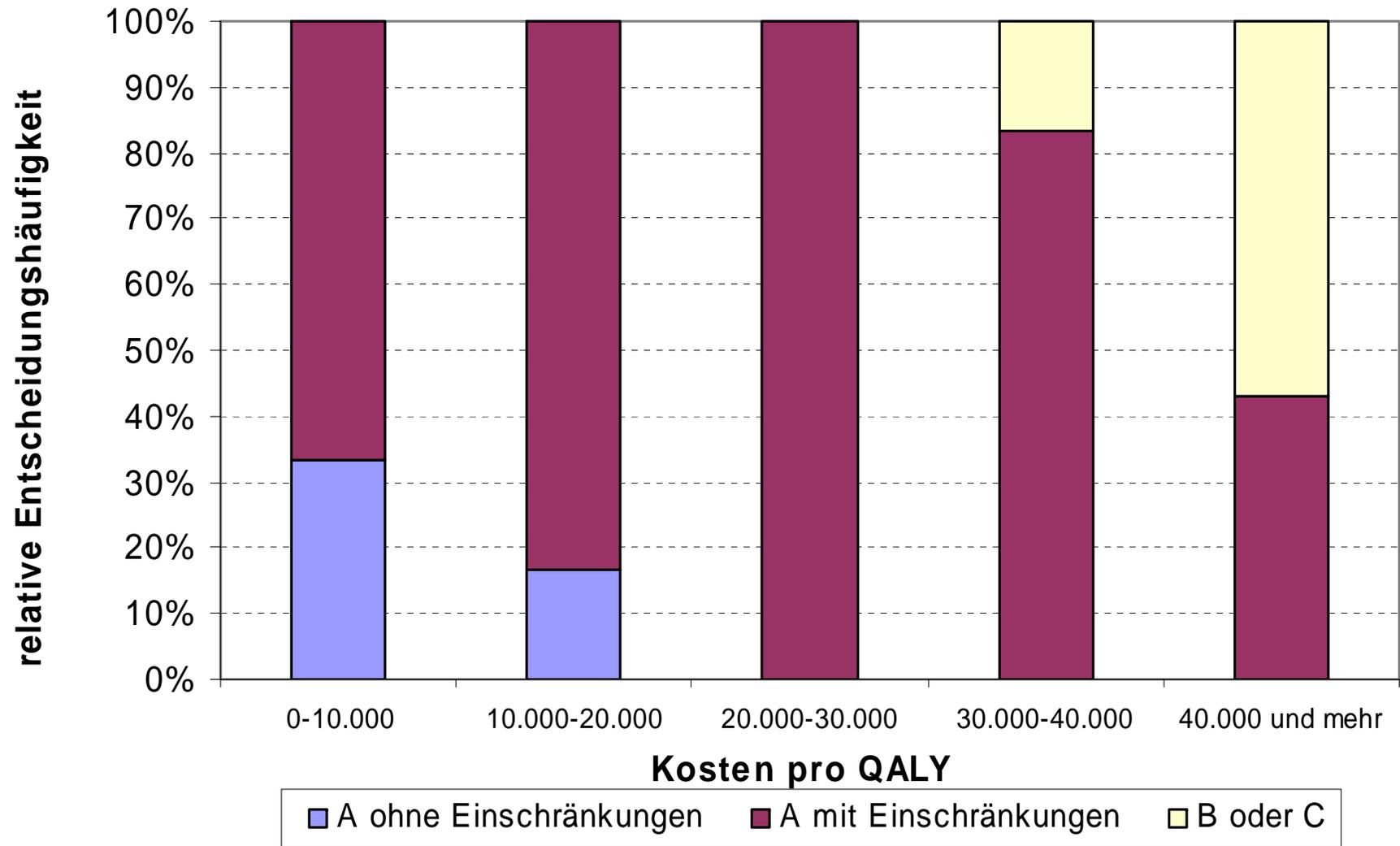
	All services		Pharmaceuticals only	
	absolute	in %	absolute	in %
A recommended	66	90,4	45	95,7
a for all indications	20	27,4	18	38,3
b + c for some indications / patient groups	46	63,0	27	57,4
B recommended only for clinical studies	5	6,9	2	4,3
C not recommended	2	2,7	0	0,0
Total	73	100,0	47	100,0

Source: Analysis of all decision of NICE until 12/2003; URL: <http://www.nice.org.uk/catta1.asp?c=153>.

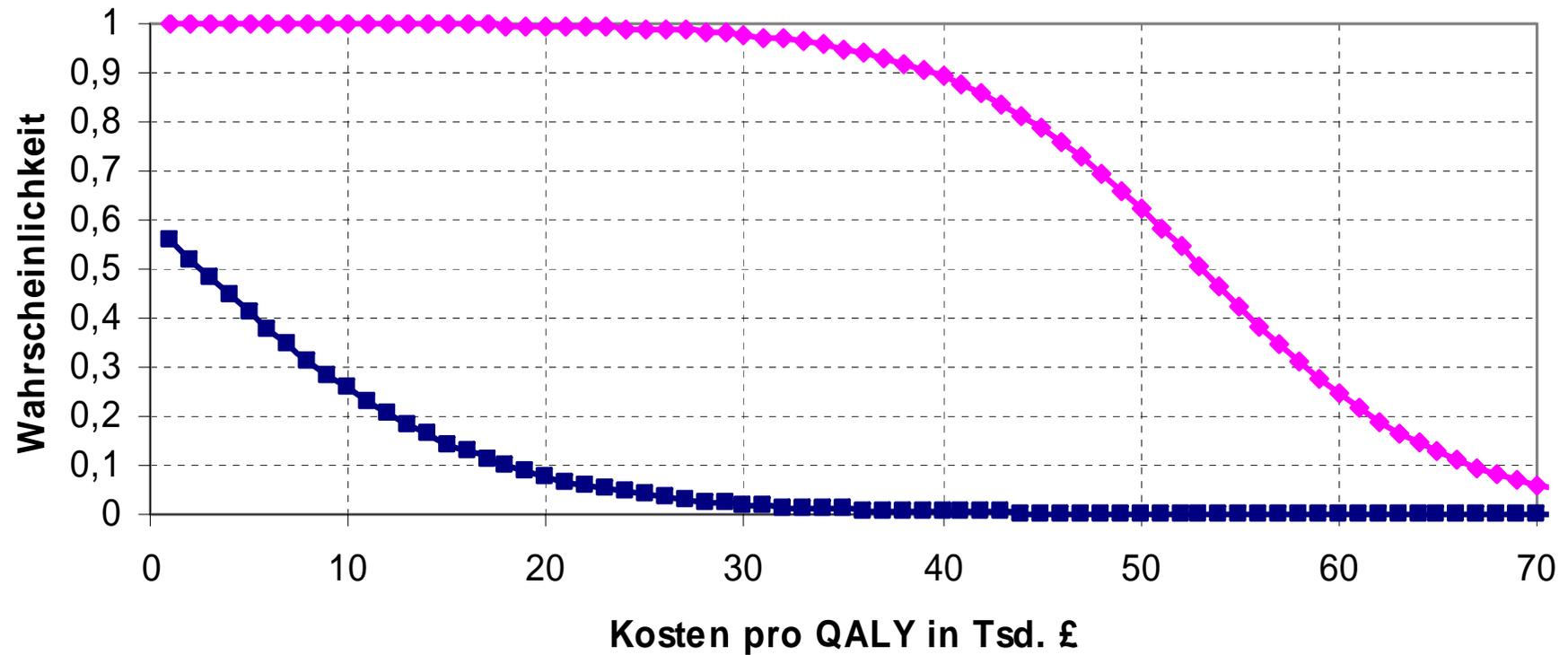
Ergebnis:

- „Geben ist seliger denn Nehmen“: geringe Ablehnungsquote
- Hoher Anteil an bedingten Empfehlungen

III.1 NICE: Rolle der Kosteneffektivität (1/3)



III.1 NICE: Rolle der Kosteneffektivität (2/3)



—■— Wahrscheinlichkeit für A ohne Einschränkung —◆— Wahrscheinlichkeit für A (insgesamt)

III.1 NICE: Rolle der Kosteneffektivität (3/3)

Rolle der Kosteneffektivität

- Mit höherer Kosten-Effektivität (= geringere Kosten pro QALY) steigt die Wahrscheinlichkeit für eine Leistung von NICE uneingeschränkt oder zumindest eingeschränkt empfohlen zu werden.
- Als Anhaltspunkt für einen Schwellenwert könnte die von NICE selbst proklamierte „range of acceptable cost effectiveness“ gelten: 20.000 – 30.000 £
- ABER: Kosten-Effektivität ist nicht das allein ausschlaggebende Kriterium

III.1 NICE: Weitere Entscheidungskriterien

Weitere Kriterien in NICE-Entscheidungen neben Kosten-Effektivität (Devlin & Parkin, 2004)

- **(Un-)Sicherheit**
„Im Zweifel für den Angeklagten“
 - Verfügbarkeit alternativer Therapien
„Orphan“-Behandlungen
 - Gesundheitlicher Ausgangszustand
Nachbesserung bei Maßnahmen, die nach reiner „Kosten pro QALY“-
Betrachtung nicht in Frage kommen würden (z.B. palliativmedizinische
Maßnahmen)
 - **Krankheitslast („burden of disease“) / Größe der Gruppe
potentieller Nutznießer**
- Erklärung der Beobachtung, das NICE Maßnahmen empfiehlt, die oberhalb der „range of acceptable cost effectiveness“ liegen.

III.1 NICE: Umstrittene Entscheidungen

Umstrittene und revidierte Empfehlungen von NICE (Beispiele)

- 2000: Zanamivir („Relenza“) bei Grippe
Revision nach Einreichung zusätzlicher Herstellerstudien
- 2004: Beta-Interferon bei Multipler Sklerose
Ablehnung erst nach sehr langer Bewertungsphase
- 2006: Trastuzumab („Herceptin“) bei frühen Formen von Brustkrebs
Revision nach neueren (umstrittenen) medizinischen Erkenntnissen und heftig geführter medialer Auseinandersetzung
- 2007: Donepezil, Galantamin, Rivastigmin und Memantin bei leichtem bis mittelschwerem Alzheimer
Revision zwischen vorläufiger und endgültiger Bewertung (außer Memantin)

III.1 NICE: Grundproblematiken

- „Singulärer Grundansatz“, d.h. sukzessive Betrachtung einzelner Maßnahmen (wie auch bei IQWIG) führt zu Inkonsistenzen:
 - Bei knappen Ressourcen bedeutet die Umsetzung zusätzlicher (von NICE empfohlener) Maßnahmen, dass andere Leistungen gekürzt werden müssen, die womöglich kosteneffektiver sind
- Implementationsblockaden:
 - Weder werden positive Empfehlungen immer umgesetzt,
 - Noch sind negative Empfehlungen verbindlich.
- Das Entscheidungsdilemma von NICE
 1. Um zu gesellschaftlich akzeptierten Entscheidungen zu kommen, müssen neben der Kosten-Effektivität weitere Kriterien berücksichtigt werden.
 2. Wenn neben der Kosten-Effektivität weitere Kriterien berücksichtigt werden, wird die Eignung des Entscheidungsmechanismus als Instrument zur Allokation von Ressourcen in Frage gestellt.

→ Je mehr Kriterien einbezogen werden, desto mehr nicht eigentlich kosten-effektive Maßnahmen werden in den Leistungskatalog aufgenommen.

III.1 NICE: Lehren aus der NICE-Erfahrung

- Auch ein unabhängiges Institut steht unter starkem politischem Druck und hat Entscheidungen revidiert
- NICE-Empfehlungen garantieren nicht die Umsetzung
=> generelles Implementationsproblem
- Kosten-Nutzwert-Analysen sind alleiniges Entscheidungskriterium ungeeignet, weil sie gesellschaftlichen Präferenzen widersprechen (können). Der Einbezug weiterer Kriterien verringert aber die Stringenz des Entscheidungsprozesses
- Sukzessives Betrachtung einzelner Maßnahmen kann zu Inkonsistenzen führen
=> Mögliche Lösung: genereller Grundansatz = simultane Betrachtung aller Maßnahmen, z.B. im Oregon Health Plan

III.2 Der Oregon Health Plan: Übersicht

- Entstehungsgeschichte und Zielsetzung
- Funding line
- Erstellung der Prioritätenliste
- Ergebnisse und Grundprobleme
- Lehren aus der Erfahrung mit dem Oregon Health Plan

III.2 Oregon Health Plan: Entstehungsgeschichte und Zielsetzung

- Grundproblem:
 - Hoher Anteil an Unversicherten in den USA.
 - Ende der 1980er Jahre in Oregon: 400-450 Tsd. Menschen = 16% der Bev.
- Initialzündung:
 - 1987: Ausschluss von Transplantationsverfahren aus dem Medicaid-Programm
 - Kurz danach: Tod eines 7-jährigen Jungen an Leukämie. Öffentliche Zuschreibung: Schuld war fehlende Knochenmarktransplantation.
- Ziel:

Ausdehnung des Versichertenkreises bei gleichzeitiger Einschränkung des Leistungskatalogs (Erhöhung der Allokationseffizienz),
d.h. **expliziter Rationierungsansatz**.
- Vorgehensweise:

Formulierung einer Prioritätenlisten basierend auf Kosteneffektivität und
Ziehung einer „funding line“

III.2 Oregon Health Plan: Funding-line

Prioritätenliste und funding-line

Ranking	Diagnose	Behandlungsform	
564	allergische/atopische Dermatitis	Medikamentös	funding line
565	symptom. Urticaria	medikamentös	
566	Dysfunktion des Nasolacrimalsystems	medikamentös/operativ	
567 (1999: 575)	chronische Analfissur	medikamentös	
568 (1999: 576)	zahnärztl. Prothetik	komplexe/Totalprothetik	
569 (1999: 577)	Impulskontrollstörungen	medikamentös/Psychotherapie	

III.2 Oregon Health Plan: Erstellung der Prioritätenliste

Ursprünglich: Ranking nach Kosten-Effektivität (QALYs),
realisiert: überwiegend nach Lebenserwartung.

	Lebensqualität	Dauer der Lebensqualitätsveränderung	Lebenserwartung	Kosten	Nachjustierung durch Kommissionsmitglieder
1990	Ja, als Lebensqualitätsindex	Ja	Ja, eingebettet in QALY-Konzept	Ja, eingebettet in Kosten-Nutzwert-Analysen	Nein
1991	Ja, als Lebensqualitätsindex	Nein	Ja	Ja, durch Kommissionsmitglieder	Ja
1992	Ja, als symptomatisch vs. asymptomatisch	Nein	Ja, als dominantes Kriterium	Ja, als nachgeordnetes Kriterium	Ja
1993	Nein	Nein	Ja, als dominantes Kriterium	Ja, als nachgeordnetes Kriterium	Ja

III.2 Oregon Health Plan: Ergebnisse und Grundproblematiken

- Ergebnisse
 - Ausdehnung des Versichertenkreises, aber mit Mehrausgaben und geringem Rationierungseffekt
 - Ausweichverhalten von Ärzten und Patienten: Unterlaufen der funding-line, u.a. durch „Anpassung“ der Diagnose
 - Grundprobleme:
 - Kosteneffektivität als alleinige Ranking-Methode fand keine gesellschaftliche Akzeptanz:
 - Nicht akzeptable Ergebnisse im Hinblick auf grundsätzliche ethische Anforderungen (Zahnüberkronung statt Appendektomie)
 - Ausschluss des Lebensqualitätsaspekts wg. Unvereinbarkeit mit Anti-Diskriminierungsregelungen
 - Ständige „Nachjustierung“ der Prioritätenliste *im Hinblick auf grundsätzliche ethische Anforderungen und gesellschaftliche Präferenzen*
- ⇒ Grenzen der utilitaristischen Logik!

III.2 Oregon Health Plan: Lehren aus der OHP-Erfahrung

- Der generelle Grundansatz hat die Leistungsfähigkeit der ökonomischen Evaluation überfordert
- Rationierungsentscheidungen werden im konkreten Fall unterlaufen – auch wenn sie abstrakt mehrheitsfähig sind
- Ranking ausschließlich nach Kosten-Nutzwertrelation kann zu Ergebnissen führen, die gesellschaftlichen Präferenzen widersprechen
=> Ergänzung um andere Kriterien ist unvermeidlich

IV. Der Anteil der Analyseform an vorhandenen Akzeptanzproblemen (1/9)

- Ausländische Erfahrungen:
Priorisierung / Rationierung stößt auf Akzeptanzprobleme
- Was sind mögliche Ursachen dieser Akzeptanzprobleme?
 1. Das Wesen der Rationierung
 - nicht vermeidbar!
 - NICE und OHP zielen auf Rationierung ab und werden dafür kritisiert
 2. Die Methodik der Rationierung
 - Kann die Akzeptanz durch andere Methodik verbessert werden?

IV. Der Anteil der Analyseform an vorhandenen Akzeptanzproblemen (2/9)

Analyseformen

- Kosten-Wirksamkeits-Analyse

$$CEA: \frac{\Delta \text{Kosten}}{\Delta \text{natürlicher Parameter}}$$

} IQWiG

- Kosten-Nutzwert-Analyse

$$CUA: \frac{\Delta \text{Kosten}}{\Delta \text{Nutzwert}}$$

} NICE, OHP

- Kosten-Nutzen-Analyse

$$CBA: \frac{\Delta \text{Kosten}}{\Delta \text{monetärer Nutzen}}$$

Die Kosten-Nutzwert-Analyse

$$CUA: \frac{\Delta \text{Kosten}}{\Delta \text{Nutzwert}}$$

- Outcome: konstruierter Parameter, der mehrere (nämlich 2) Größen vereinen soll: die Lebensqualität und die Überlebensdauer
- Nutzwertbestimmung: Lebensqualität und die in dieser Lebensqualität verbrachte Lebenszeit
→ QALYs als prominentestes Konzept: LQ * LZ
- Stärken: Akzeptanz unter Anwendern und Praktikabilität
- Schwäche(n): Reduktion auf das gesundheitliche outcome, keine umfassende Präferenzbasierung

IV. Der Anteil der Analyseform an vorhandenen Akzeptanzproblemen (4/9)

Beispiel Palliativmedizin

→ Eigenschaften palliativer Maßnahmen

1. Begrenzter Lebensqualitätszugewinn
 2. Sehr begrenzte Zeit des Lebensqualitätszugewinns
 3. ABER: sehr hohe soziale Erwünschtheit
- } Gesundheitliches outcome
} Bewertung

→ Kosten-Nutzwert-Analyse kann den 3. Aspekt (hohe soziale Erwünschtheit) nicht direkt berücksichtigen.

→ Aktueller wissenschaftlicher Konsens

Nutzwerte (insbes. QALYs) können sinnvolle Aussagen liefern, sofern sie nicht als Nutzen oder Präferenzen fehlinterpretiert werden

IV. Der Anteil der Analyseform an vorhandenen Akzeptanzproblemen (5/9)

Denkbare „weitere Entscheidungskriterien“

- Verteilung
- Bestehende soziale Kontrakte (intergenerationale Umverteilung in der GKV)
- Minderheitenschutz
- Ethische Bedingungen (z.B. Lebensrettung zuerst)
- Allgemein: Präferenzen

Mögliche Vorgehensweisen

- „Nachjustierung“
 - z.B. durch Gewichtung, Einbeziehung weiterer Kriterien (wie bei NICE) oder „Prioritäten bei der Priorisierung“ (wie im OHP).
- Verwendung eines integrierenden (präferenzbasierten) outcomes.

IV. Der Anteil der Analyseform an vorhandenen Akzeptanzproblemen (7/9)

Analyseformen und Konfliktlinien

- Kosten-Wirksamkeits-Analyse

$$CEA: \frac{\Delta \text{Kosten}}{\Delta \text{natürlicher Parameter}}$$

- Kosten-Nutzwert-Analyse

$$CUA: \frac{\Delta \text{Kosten}}{\Delta \text{Nutzwert}}$$

- Kosten-Nutzen-Analyse

$$CBA: \frac{\Delta \text{Kosten}}{\Delta \text{monetärer Nutzen}}$$

Konflikt
in der
deutschen
Diskussion

internationale
Diskussion

IV. Der Anteil der Analyseform an vorhandenen Akzeptanzproblemen (8/9)

Die Kosten-Nutzen-Analyse

$$CBA : \frac{\Delta \text{Kosten}}{\Delta \text{monetärer Nutzen}}$$

- outcome: monetär bewerteter Nutzen
- Bestimmung des monetären Nutzen: in der Regel durch Abfrage der Zahlungsbereitschaft (willingness to pay, WTP)
- Stärken: theoretische Fundierung und Präferenzbasierung
- Schwächen: Praktikabilität und ethische Einwände

V. Fazit (1/2)

- Angesichts knapper Ressourcen ist Priorisierung / Rationierung unvermeidlich und – zur Steigerung der Allokationseffizienz – auch wünschenswert
- Erstrebenswert ist es diesen Prozess durch offene, explizite Regeln zu steuern, die versuchen die Effizienz, d.h. das Nutzen-Kosten-Verhältnis, zu maximieren
- Hierzu ist gesundheitsökonomische Evaluation unabdingbar.
- Die Akzeptanz von Rationierungsentscheidungen bleibt im Einzelfall begrenzt – dies erscheint unabänderlich, darf aber nicht dazu führen, in die implizite Rationierung zu flüchten.

V. Fazit (2/2)

- Es stellt sich aber die Frage, inwieweit die Form ökonomischen Evaluation die Akzeptanz beeinflusst
- Das IQWiG will sich auf Kosten-Wirksamkeits-Analysen beschränken. Das ist aber zu wenig.
- Deutsche GesundheitsökonomInnen plädieren für Kosten-Nutzwert-Analysen, die international weit verbreitet sind, aber methodologische und methodische Schwächen haben.
- Kosten-Nutzen-Analysen sind stärker in der ökonomischen Theorie verhaftet. Ob sie allerdings die Akzeptanz außerhalb von Ökonomenzirkeln erhöhen, ist nicht absehbar

Ende

Ich danke Ihnen für Ihre Aufmerksamkeit!