



Methodische Fragen zur frühen Nutzenbewertung nach § 35a SGB V

Jürgen Windeler



AMNOG

- Nutzenbewertung für Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen oder nach Zulassung eines neuen Anwendungsgebietes
- Frage nach dem Zusatznutzen
- anschließende Preisgestaltung abhängig vom Zusatznutzen

Inhaltliche Eckpunkte

- Bewertung des Zusatznutzens zu einer zweckmäßigen Vergleichstherapie
- Dossierbewertung innerhalb 3 Monaten
- Mögliche Studienauflagen
- Mögliche Nutzenbewertung
- Mögliche Kosten-Nutzen-Bewertung
- „Sanktionen“ bei verspäteten oder unvollständigen Dossiers (kein Zusatznutzen)
- Einsichtsmöglichkeit in Zulassungsunterlagen

Methodische Aspekte

Basis: Rechtsverordnung (Stand 8.11.2010)

„Nutzen ... ist der patientenrelevante Effekt insbesondere hinsichtlich der Verbesserung des Gesundheitszustands ... oder einer Verbesserung der Lebensqualität“
„Zusatznutzen ist ein ... höherer Nutzen“

→ Effekt = Vergleich zu Nichtanwendung

→ Nicht Compliance, Anwendernutzen

→ „oder“ ?

Nutzen und Zusatznutzen sind Verbesserungen in mindestens einem Kriterium unter Bewertung der Effekte in anderen.

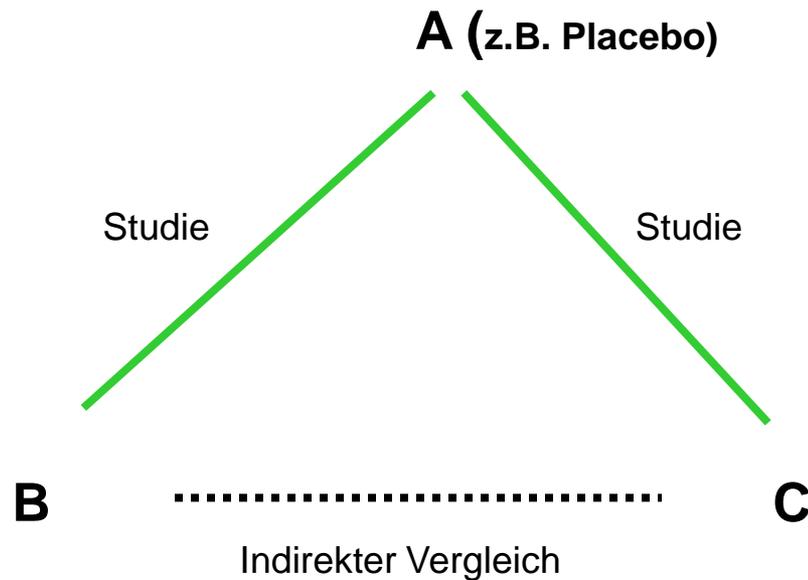
Methodische Aspekte

Basis: Rechtsverordnung (Stand 8.11.2010)

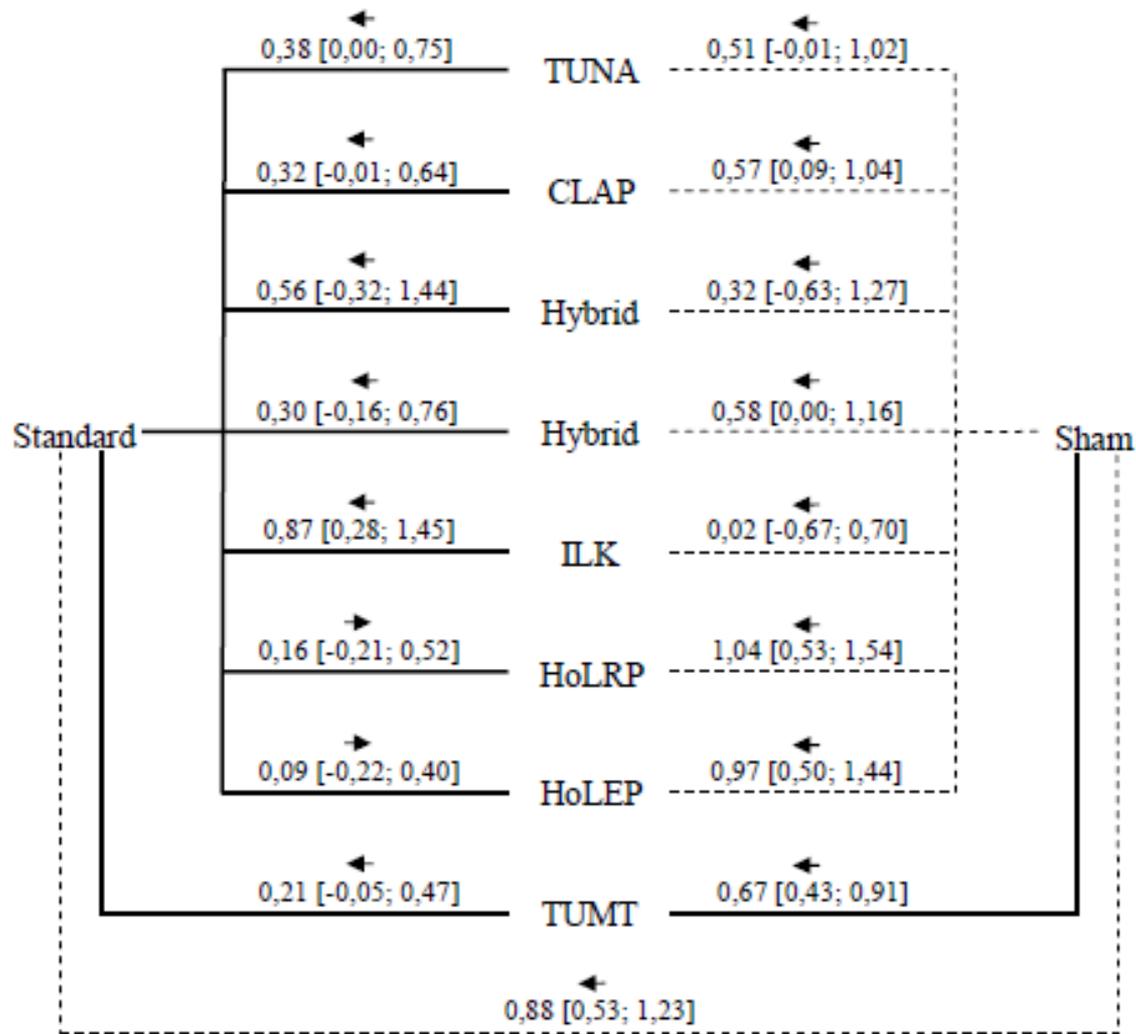
„Liegen keine klinischen Studien zum direkten Vergleich vor, ... sind im Dossier vollständige Angaben zu einem indirekten Vergleich zu machen“; „Nachweis eines Zusatznutzens durch indirekten Vergleich“

- Grundsätzlich methodisch tragfähiges Vorgehen
- !! Voraussetzungen-Rahmenbedingungen !!
- Im IQWiG bereits praktiziert
- (deutlich) größere Unsicherheit

Methodische Aspekte Basis: Rechtsverordnung (Stand 8.11.2010)



„Sind zwei Größen einer dritten gleich, so sind sie untereinander gleich“



Erläuterungen: Geschätzte Effekte in Einheiten der SD [95 %-KI]

———— direkter Vergleich

- - - - - indirekter Vergleich

← Pfeil zeigt in Richtung der numerisch
besseren Behandlung

Methodische Aspekte

Basis: Rechtsverordnung (Stand 8.11.2010)

„Der Zusatznutzen ist vom pharmazeutischen Unternehmer
im Dossier nachzuweisen“

→ Unmissverständliche Festlegung der Beweislast mit
klarer Festlegung des Beweismittels

Methodische Aspekte

Basis: Rechtsverordnung (Stand 8.11.2010)

„Sofern es unmöglich oder unangemessen ist, Studien höchster Evidenzstufe durchzuführen oder zu fordern, sind Nachweise der best verfügbaren Evidenzstufe einzureichen.“

→ Der G-BA hat in seiner VO die Anforderungen an Nachweise gem. 2. Halbsatz formuliert.

Methodische Aspekte

Basis: Rechtsverordnung (Stand 8.11.2010)

„mit welcher Wahrscheinlichkeit ... ein (Beleg für einen)
Zusatznutzen vorliegt“

- Der Begriff „Wahrscheinlichkeit“ hat hier keine formale methodische Interpretation.
- zu verstehen als Zuverlässigkeit, Verlässlichkeit der Aussage
- In IQWiG-Methoden in der Differenzierung der Ergebnissicherheit („Hinweis“ und „Beleg“) umgesetzt.

Methodische Aspekte

Basis: Rechtsverordnung (Stand 8.11.2010)

„... in welchem Ausmaß ein (Beleg für einen) Zusatznutzen vorliegt“

Abstufung des Zusatznutzens (6 Stufen)

4. Ein Zusatznutzen kann nicht quantifizierbar sein, wenn die wissenschaftliche Datengrundlage dies nicht zulässt.
5. Es ist kein Zusatznutzen belegbar

→ Welcher Unterschied besteht methodisch zwischen 4. und 5 ?

→ Ein Zusatznutzen, der belegbar, aber nicht (grob) quantifizierbar ist, scheint eine eher ungewöhnliche Situation

Methodische Aspekte

Basis: Rechtsverordnung (Stand 8.11.2010)

Für Arzneimittel einer Wirkstoffklasse ist die gleiche zweckmäßige Vergleichstherapie heranzuziehen, um einen einheitliche Bewertung zu gewährleisten. ...

- Methodisch (und versorgungspraktisch) ist eine *zweckmäßige* Vergleichstherapie nicht statisch, sondern dynamisch
- Wenn Arzneimittel A einen (deutlichen) Zusatznutzen gegenüber der Vergleichstherapie B nachweist, wird sie bald zur neuen zweckmäßigen Vergleichstherapie werden können
- Bei mehreren zweckmäßigen Vergleichstherapien die mit der besten Evidenz wählen, insbes. die, für die direkte Vergleiche vorliegen

Ergänzung des Arzneimittelgesetzes (AMG)

- Einführung § 42b „Veröffentlichung der Ergebnisse klinischer Studien“
- Verpflichtung der Hersteller mit dem Markteintritt „Berichte über alle Ergebnisse konfirmatorischer klinischer Prüfungen zu veröffentlichen“
- „alle Ergebnisse klinischer Prüfungen unabhängig davon, ob sie günstig oder ungünstig sind“

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG)

- Dillenburger Straße 27
- D-51105 Köln
- Telefon +49-221/3 56 85-0
- Telefax +49-221/3 56 85-1
- info@iqwig.de
- www.iqwig.de

