

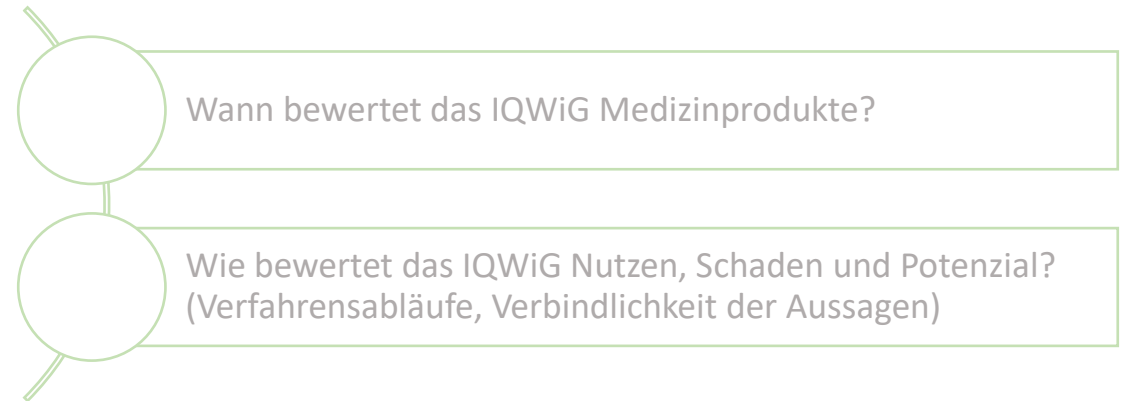
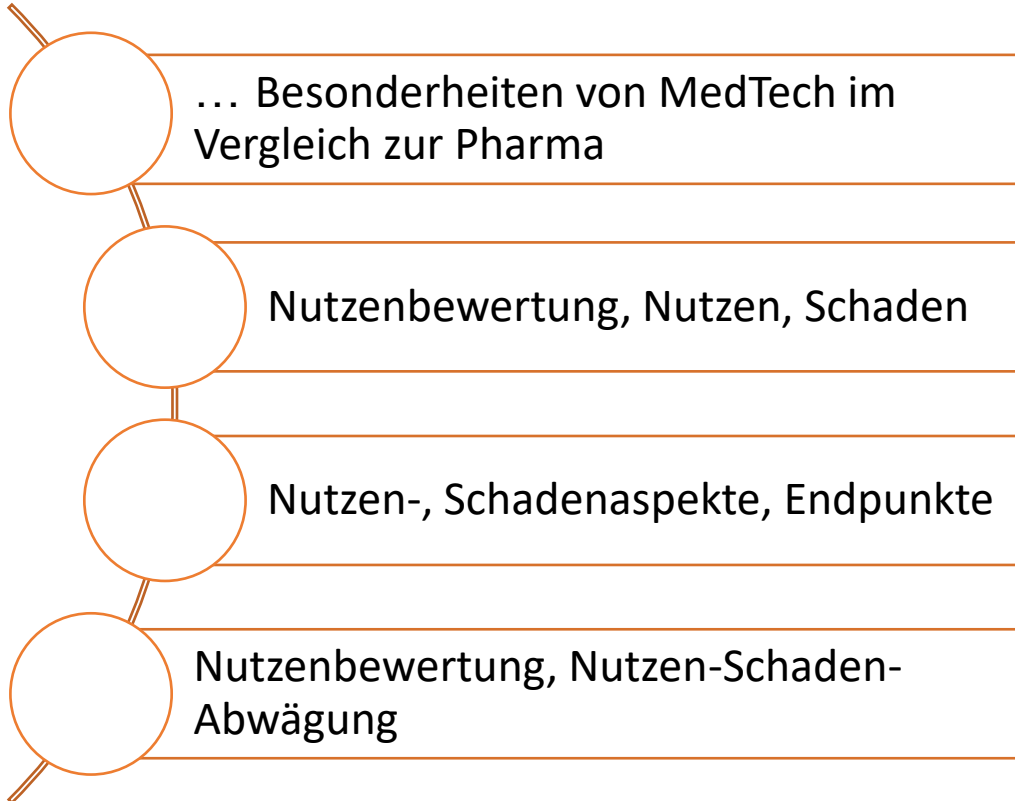
Nutzenbewertung | Grundlagen und Hintergrund

LETS GET DEEPER

BVMed Grundlagenseminar zur Nutzenbewertung
Online-Veranstaltung, 07. Februar 2025

PD Dr. Cornelia Henschke
Fachgebiet Management im Gesundheitswesen
Gesundheitsökonomisches Zentrum Berlin (BerlinHECOR)
Technische Universität Berlin

Gliederung



Pharma vs. MedTech

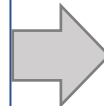
- Unterschiede im Marktzugang, Unterschiede im Prozess Erstattungsfähigkeit
- Problematik: Verblindung des die Intervention ausführenden Personals und der Patient*innen
- Problematik: Einfluss der Fähigkeiten und Fertigkeiten der Anwender*innen (Lernkurven)
- Problematik: Veränderungen der Intervention im Verlauf einer Studie (Schrittinnovationen)

→ Welche Lösungen gibt es, zur Abmilderung bzw. Beseitigung der Problematiken?



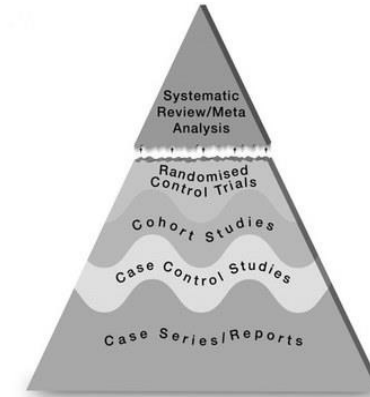
Grundsätze der evidenzbasierten Medizin und Nutzenbewertung gelten grundsätzlich für alle Technologien.

→ Insgesamt gilt für die Bewertung des Nutzens und Schadens kein prinzipiell anderer Maßstab - Verfahrensordnung des G-BA: prioritäre Berücksichtigung von RCTs, soweit möglich, unabhängig vom Typ der zu bewertenden medizinischen Maßnahme.



Bewertung therapeutischer Methoden

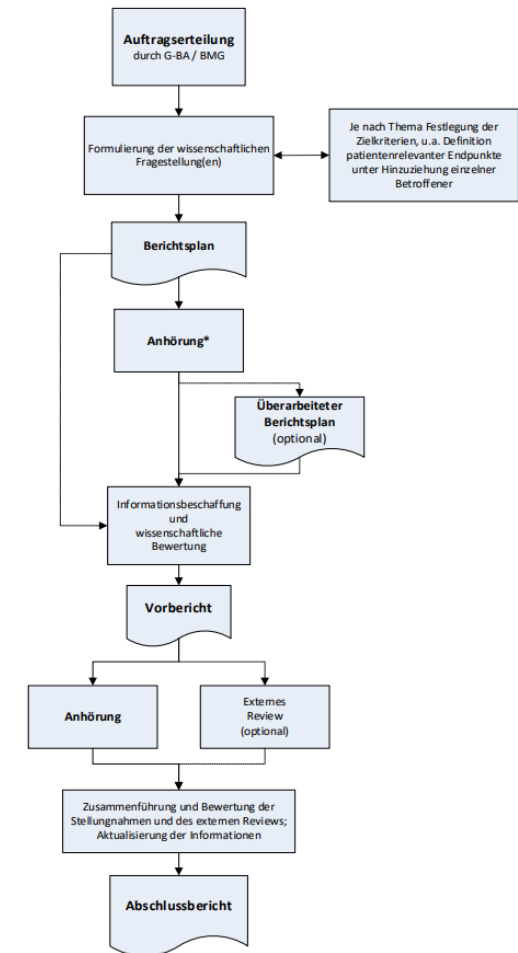
- I a systematische Übersichtsarbeiten von Studien der Evidenzstufe I b,
- I b randomisierte klinische Studien,
- II a systematische Übersichtsarbeiten von Studien der Evidenzstufe II b,
- II b prospektive vergleichende Kohortenstudien,
- III retrospektive vergleichende Studien,
- IV Fallserien und andere nicht vergleichende Studien,
- V Assoziationsbeobachtungen, pathophysiologische Überlegungen, deskriptive Darst., Einzelfallberichte, Expertenmeinungen, Berichte von Expertenkomitees und Konsensuskonferenzen.



Murad et al. <https://ebm.bmj.com/content/ebmed/21/4/125.full.pdf>

Nutzenbewertung

- Gesamte Prozess der Evaluation medizinischer Interventionen hinsichtlich der kausal begründeten positiven und negativen Effekte im Vergleich zum Komparator
- Komparator: klar definierte andere Therapie (i.d.R. Standardtherapie), Placebo, keine Behandlung
- Nutzen- und Schadenaaspekte werden endpunktbezogen evaluiert und dargestellt
- Würdigung der endpunktbezogenen Nutzen- und Schadenaaspekte



Nutzen und Nutzenbewertung im Kontext des SGB V

Verfahrensordnung des G-BA

Keine explizite Definition des Nutzens; aber **Überprüfung des Nutzens diagnostischer und therapeutischer Leistungen** (Methoden) werden insbesondere die folgenden Unterlagen herangezogen (§10):

- Unterlagen zum **Nachweis der Wirksamkeit** bei den beanspruchten Indikationen,
- Unterlagen zum **Nachweis der therapeutischen Konsequenzen einer diagnostischen Methode,**
- Unterlagen **zur Abwägung des Nutzens gegen die Risiken,**
- Unterlagen zur Bewertung der **erwünschten und unerwünschten Folgen** (outcomes) und
- Unterlagen zum **Nutzen im Vergleich zu anderen Methoden** gleicher Zielsetzung.

Nutzen und Nutzenbewertung im Kontext des SGB V

Methodenpapier des IQWiG

Nutzenbewertung: gesamte Prozess der Evaluation medizinischer Interventionen hinsichtlich ihrer kausal begründeten positiven und negativen Effekte – im Vergleich zu einer klar definierten anderen Therapie, einem Placebo oder keiner Behandlung

Nutzen: kausal begründete positive Effekte einer medizinischen Intervention auf patientenrelevante Endpunkte.

Schaden: kausal begründete negative Effekte einer medizinischen Intervention auf patientenrelevante Endpunkte

Kausal begründeter Effekt: es besteht ausreichend Sicherheit, dass beobachtete Effekte allein auf die zu prüfende Intervention zurückgeführt werden können

IQWiG Terminologie: Nutzenaspekte/ Schadenaspekte

Vergleichende Bewertung der Nutzen- bzw. Schadenaspekte der zu evaluierenden medizinischen Intervention mit einer andere eindeutig definierten medizinischen Intervention:

Nutzenaspekte:

- Vorteil: höherer Nutzen im Vergleich zur anderen Intervention (Ausnahme: Dossierbewertungen, Zusatznutzen)
- Nachteil: geringerer Nutzen im Vergleich zur anderen Intervention
- Vergleichbarer Effekt: vergleichbarer Nutzen

Schadenaspekte:

- höherer Schaden
- vergleichbarer Schaden
- geringerer Schaden

(1) Bewertung jedes patientenrelevanten Endpunktes hinsichtlich seines Nutzens oder Schadens in vier Abstufungen

(2) Anschließend: Formulierung einer zusammenfassenden Bewertung

Ableitung des Nutzens über patientenrelevante Endpunkte

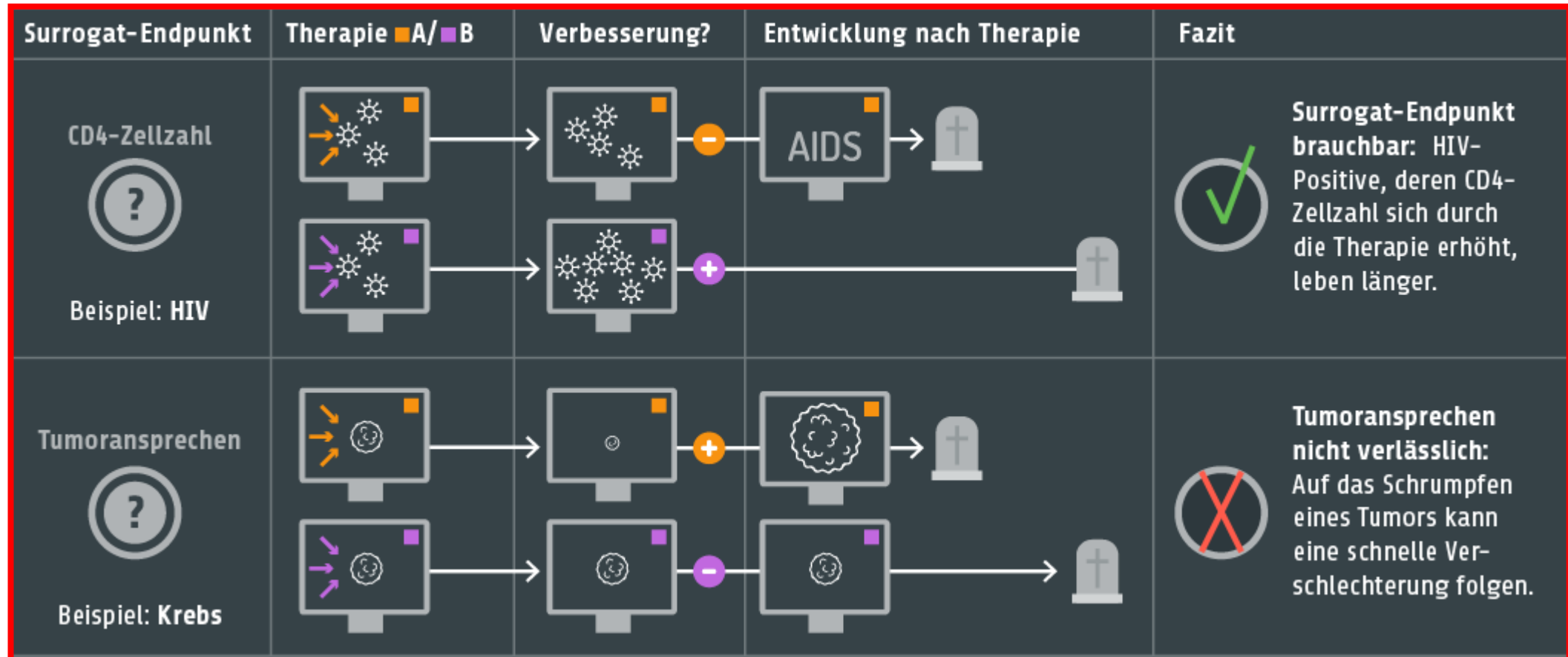
- Mortalität (Sterblichkeit)
 - Zielgrößen, die tödliche Ereignisse innerhalb eines definierten Zeitraums beschreiben
 - Morbidität (Beschwerden und Komplikationen)
 - Zielgrößen, welche Beschwerden und Komplikationen von Krankheiten beschreiben
 - gesundheitsbezogene Lebensqualität
 - unerwünschte Ereignisse
- Aber auch Berücksichtigung von z.B. Patientenzufriedenheit im Sinne sekundärer Zielgrößen, sofern verwendete Endpunkte zuverlässig und direkt konkrete Änderungen des Gesundheitszustands abbilden + entsprechende Erhebungsinstrumente für klinischen Studien geeignet und entsprechend evaluiert

Ableitung des Nutzen über Surrogatendpunkte (nicht die Regel)



- als Ersatz für patientenrelevante Endpunkte verwendet, z.B. um Aussagen zum patientenrelevanten Nutzen früher und einfacher zu erhalten
- Problematik der Verlässlichkeit/Irreführung
- Wird der Effekt auf den zu ersetzenden patientenrelevanten Endpunkt in ausreichendem Ausmaß durch den Effekt auf den Surrogatendpunkt erklärt?
- Validierung anhand geeigneter statistischer Methoden notwendig (hinreichend eingegrenzte Patientenpopulation und vergleichbare Intervention)

Ableitung des Nutzen über Surrogatendpunkte

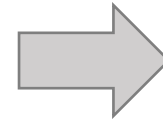


<https://www.iqwig.de/presse/mediathek/grafiken/infografik-patientenrelevante-endpunkte/>

Ermittlung des Schadens medizinischer Interventionen

- Schaden: Auftreten unerwünschter Wirkungen bei der Anwendung einer medizinischen Intervention
- Unerwünschte Wirkungen: diejenigen, die einen individuell wahrgenommenen oder objektiv feststellbaren physischen oder psychischen Schaden darstellen, der zu einer Verkürzung der Lebenserwartung, Erhöhung der Morbidität oder Beeinträchtigung der Lebensqualität führt
- Relevante unerwünschte Wirkungen, z.B. solche die
 - den Nutzen der Intervention teilweise/ganz aufwiegen
 - sich zwischen ansonsten gleichwertigen Therapieoptionen erheblich unterscheiden könnten
 - von Patient*innen als besonders wichtig angesehen werden
 - von schwerwiegender Morbidität oder erhöhter Mortalität begleitet sind oder mit einer erheblichen Beeinträchtigung der Lebensqualität einhergehen ...

Aufbereitung & Darstellung von Schadensaspekten

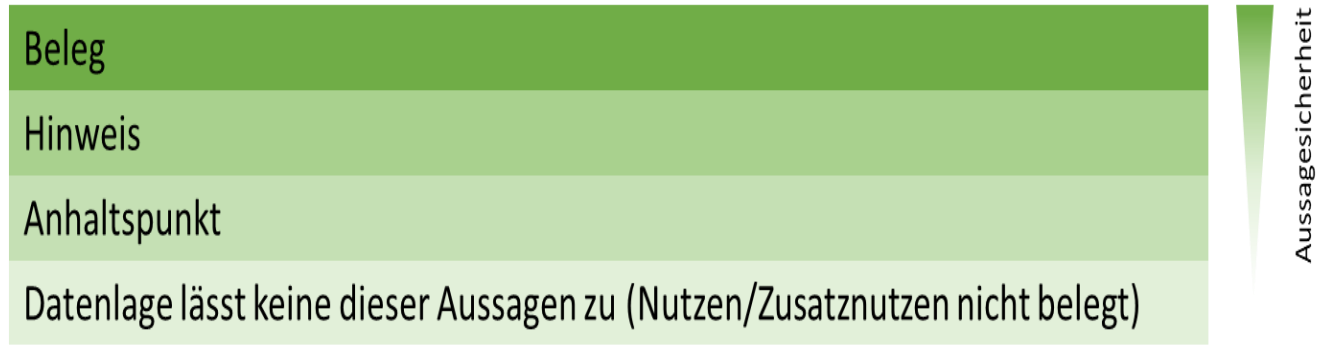


Zusammenstellung einer Auswahl potenziell relevanter unerwünschter Wirkungen

- Heranziehen der Gesamtraten der schwerwiegenden unerwünschten Ereignisse und der Abbrüche wegen unerwünschter Ereignisse
- Auswahl potenziell relevanter spezifischer unerwünschter Wirkungen
 - Vorabrecherche/ Einbezug Betroffener (Bezug zum Krankheitsbild/ zur Studie)
 - Identifizierung basierend auf den in der relevanten Studie aufgetretenen unerwünschten Ereignissen

Endpunktbezogene Bewertung

(1) Bewertung jedes patientenrelevanten Endpunktes hinsichtlich seines Nutzens oder Schadens in vier Abstufungen



- Qualitative Sicherheit von Studienergebnissen
- Quantitative Sicherheit von Studienergebnissen

→ vgl. Folien Prof. Sauerland

Endpunktbezogene Bewertung

(2) Ableitung der Beleglage und Aussagesicherheit

- Anzahl der vorhandenen Studien
- qualitative Ergebnissicherheiten
- in den Studien gefundenen Effekte

		Anzahl Studien				
		1 (mit statistisch signifikantem Effekt)	≥ 2			
			gemeinsame Effektschätzung sinnvoll	gemeinsame Effektschätzung nicht sinnvoll		
			Metaanalyse statistisch signifikant	konkludente Effekte ^a		
				deutlich	mäßig	nein
Qualitative Ergebnis- sicherheit	hoch	Hinweis	Beleg	Beleg	Hinweis	–
	mäßig	Anhaltspunkt	Hinweis	Hinweis	Anhaltspunkt	–
	gering	–	Anhaltspunkt	Anhaltspunkt	–	–

a. Zur Erläuterung des Begriffs siehe Text im Abschnitt 3.1.4 B.

→ vgl. Folien Prof. Sauerland

Zusammenfassende Bewertung

- Fazit in Form einer Nutzen-Schaden-Abwägung
- Vorhandensein von Belegen eines Nutzens und/oder eines Schadens bezüglich der Zielgrößen zur Mortalität, Morbidität, gesundheitsbezogene Lebensqualität → Darstellung von Nutzen, Schaden und soweit mgl. Nutzen-Schaden-Abwägung
 - Unter Berücksichtigung von alters-, geschlechts- und lebenslagenspezifischen Besonderheiten
 - Gegenüberstellung der endpunktbezogenen Nutzen- und Schadenaspekte und Abwägen der Effekte der Endpunkte mit dem Ziel einer endpunktübergreifenden Aussage zum Nutzen
 - Aggregation der verschiedenen patientenrelevanten Endpunkte zu einem Maß (oder Gewichtung)

DISKUSSION

BVMed Grundlagenseminar zur Nutzenbewertung
Online-Veranstaltung, 07. Februar 2025

PD Dr. Cornelia Henschke

Fachgebiet Management im Gesundheitswesen
Gesundheitsökonomisches Zentrum Berlin (BerlinHECOR)

Technische Universität Berlin

cornelia.henschke.1@tu-berlin.de

Tel. ++49 30 314 28703