
Kosten- und Nutzenbewertung (von Arzneimitteln) international

Prof. Dr. med. Reinhard Busse MPH FFPH

Fachgebiet Management im Gesundheitswesen – WHO Collaborating Centre for
Health Systems Research and Management, TU Berlin

&

European Observatory on Health Systems and Policies



HTA-Programm beim DIMDI

**Prioritätenliste
Gruppe Methodik 2004/1**

**Methoden zur vergleichenden Bewertung
pharmazeutischer Produkte**

Fragestellung: Gibt es Methoden für eine Bewertung
pharmazeutischer Produkte, die sich für vergleichende
Untersuchungen eignen? Welche Methoden sind dies?



Fragestellungen

- Wer evaluiert Arzneimittel zu welchem Zweck (z.B. Ein-/Ausschluss Leistungskatalog, Preissetzung)?
- Gegen welche Arzneimittel – oder andere Behandlungsoptionen – werden Arzneimittel evaluiert? Welche Indikationen und Patientengruppen werden geprüft? Welche Outcomes? Welcher Zeithorizont? Welche Studiendesigns werden verlangt bzw. akzeptiert?
- Wer liefert die Studiendaten?
- Wann gilt ein Arzneimittel als innovativ? Ist dies eine „ja/nein“-Entscheidung oder gibt es Zwischenstufen?



National drug evaluating institutions and their advisory bodies

Austria	Federation of Austrian Social Insurance Institutions/Drug Evaluation Committee (Hauptverband der Österreichischen Sozialversicherungsträger/Heilmittel-Evaluierungs-Kommission)
Australia	Pharmaceutical Benefits Advisory Committee/Economic Sub-Committee
Belgium	National Institute for Sickness and Invalidity Insurance/Commission for Reimbursement of Medicines (Institut national de l'assurance maladie-invalidité/Commission de réimbursement des médicaments)
Canada	PMPRB - Patented Medicine Prices Review Board/Human and Veterinary Drug Advisory Panels CDR - Canadian Expert Drug Advisory Committee/Common Drug Review-Directorate at Canadian Coordinating Office for Health Technology Assessment
Finland	Pharmaceuticals Pricing Board (Lääkkeiden hintalautakunta)
France	Economic Committee for Health Products/Transparency Commission (Comité économique des produits de santé/Commission de Transparence)
Germany	Federal Joint Committee/Institute for Quality and Efficiency in Health Care (Gemeinsamer Bundesausschuss/Institut für Wirtschaftlichkeit und Qualität im Gesundheitswesen)
The Netherlands	Health Care Insurance Board/Committee for Pharmaceutical Aid (College voor zorgverzekeringen/Commissie Farmaceutische Hulp)
Norway	Norwegian Medicines Agency (Statens Legemiddelverk)
New Zealand	Pharmaceutical Management Agency/Pharmacology and Therapeutic Advisory Committee
Sweden	Pharmaceutical Benefits Board (Läkemedelsförmånsämnden)
Switzerland	Swiss Federal Office of Public Health/Confederal Drug Commission (Bundesamt für Gesundheit/Eidgenössische Arzneimittelkommission)
United Kingdom	National Institute for Clinical Excellence

Arzneimittlevaluations- einrichtungen

- Die Hälfte der Einrichtungen gibt (lediglich) Empfehlungen ab (an Ministerium etc.), die andere entscheidet selbst.
- Ärzte, Gesundheitsökonomien, Pharmakologen, Epidemiologen, Biostatistiker und Vertreter der Regierung / des Gesundheitsdienstes / der Kassen sind praktisch immer vertreten; Vertreter der Öffentlichkeit bzw. Patienten nur in AU, SE and UK; Industrievertreter nur im UK



Welche Arzneimittel werden evaluiert?

- *alle neu zugelassenen*
- nur solche mit *neuen chemischen Wirkstoffen* (CA[CDR])
- *alle patentierten* (CA[PMPRB])
- alle neu zugelassenen für die *ambulante Versorgung* (FI)
- *neue und alte verordnungspflichtige* (SE)
- nur bestimmte aufgrund einer *Prioritätensetzung* (UK)



Kriterien zur Bewertung und Entscheidung

- Efficacy und/oder (community) effectiveness, unerwünschte Wirkungen (diverse Definitionen), Verhältnis von beidem
- „Nutzen für den Patienten“
- Pharmakologische Kriterien wie Pharmokinetik, Art/Dauer/Frequenz der Applikation in 50% der Länder (nicht in AU, CH, FI, NO, NZ, SE)
- Kosten-Effektivität in fast allen Ländern (außer in FR, optional in CH)



Bewertungsprozess

- AU, NO, NL: Evaluationseinrichtungen prüfen und validieren das von der Industrie eingereichte Material. Die Hersteller sind verpflichtet, einen umfassenden Bericht zu Effektivität und Kosten-Effektivität mit systematischem Review publizierter und unpublizierter Daten zu liefern.
- CA (CDR), NZ, SE, UK: Evaluationseinrichtungen führen den systematischen Review selbst durch.
- AT, CA (PMPRB), CH, FI, FR: Die Bewertungen basieren zumeist auf einer endlichen Anzahl von klinischen und ökonomischen Studien, die vom Hersteller einzureichen sind. Systematische Reviews sind erwünscht, aber nicht Voraussetzung.



Methodik I – Auswahl des Comparators

- Wesentlich für Ergebnis! – enges Befolgen der methodischen Guidelines gefordert
- in den meisten Ländern Vergleich zu “common practice” (d.h. dem am häufigsten verschriebenen Medikament oder nicht-med. Therapie) und/oder der besten verfügbaren Therapie (z.B. FI, NO, NZ, UK) oder der kostengünstigsten Therapie (z.B. CA, FR, NZ)
- Evaluiert wird zumeist für alle zugelassenen Indikationen, aber in AU und FR nur für Hauptindikation (CA evaluiert auch für wahrscheinliche Off-label Indikationen)



Methodik II – Studiendesigns

- “head-to-head”-RCTs gegen Comparator sind präferiert
- Mehrheit favorisiert “finale” Outcome-Parameter (Änderung in Mortalität, Morbidität, Lebensqualität) und Studies in “natürlichem” und landesspezifischem Setting
- Kosten-Nutzwert-Studien werden am häufigsten empfohlen und in AU, NZ und UK verpflichtend; Qualitäts-adjustierte Lebensjahre (QALYs) sind als Outcome in 4 Ländern verpflichtend



Methodik III

Die Methoden differieren in Bezug auf:

Sub-Gruppen-Analysen, Zeithorizont, präferierte Ergebnisparameter (klinisch, Patientennutzen, kombiniert), Nutzung von „community effectiveness“-Daten (zumeist gewünscht), indirekten Vergleichen (zumeist abgelehnt), Lebensqualitäts-Instrumenten, Perspektive der ökonomischen Analyse, eingeschlossenen Kostenarten, Kalkulation der Arzneimittelkosten, inkrementelle Analyse, Diskontierung (0%-15%), Nutzung von Modellierungstechniken, Sensitivitätsanalysen, Umgang mit fehlenden und nicht reliablen Daten ...



Einschränkung der Entscheidung

= Versuch, die limitierten Ressourcen zu Bevölkerungsgruppen zu lenken, die am meisten profitieren (oder für die Evidenz verfügbar ist)

- möglich in AT, AU, BE, CH, FI, SE, NZ, UK
- und zwar in Bezug auf spezifische Indikationen, Arten und Schweregrad von Krankheiten, Bevölkerungsgruppen nach Alter, Geschlecht ... , therapeutischer Strategie (z.B. first / second line treatment), Behandlungssettings, Verschreibern (z.B. nur Spezialisten; FI, NZ) oder Krankenkassenautorisierung (AT, BE)



Schlussfolgerungen

- Post-Zulassungs-Evaluation inzwischen in den meisten Ländern etabliert
- AU und CA haben längste Erfahrung, aber auch von EU-Ländern lässt sich einiges lernen
- Konsensus: innovativ, wenn Behandlung erstmalig möglich – aber Debatte über Schwelle bei Mehrnutzen
- Datenquellen, Studiendesigns und Methodik der Evaluation differieren noch stark ► intern. Zusammenarbeit zur Erhöhung von Akzeptanz und Transparenz von Evaluationen notwendig



HTA-Programm beim DIMDI

Prioritäten
Gruppe M

Met

Der komplette Bericht wird auf dieser Webseite verfügbar gemacht, sobald er vom DIMDI frei gegeben wird!

Methoden für eine Bewertung von Produkten, die sich für vergleichende Studien eignen? Welche Methoden sind dies?

