

---

---

# 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

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

Methoden

Bewertung

Produkte

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

Methoden für eine Bewertung  
Produkte, die sich für vergleichende  
Methoden eignen? Welche Methoden sind dies?