

EU-weites Health Technology Assessment – der richtige Weg!

Eine Einschätzung und Verbesserungsvorschläge

Reinhard Busse, 24. Juli 2018

Die Europäische Kommission hat einen Vorschlag vorgelegt, wichtige Bereiche von HTA auf eine EU-weite Basis zu stellen. Der Vorschlag ist nach den vorherigen, im Jahr 1994 beginnenden Schritten eine logische und konsequente Weiterentwicklung: nachdem HTA bis 2008 zunächst im Rahmen von mehreren Forschungsprojekten hinsichtlich seiner nationalen Umsetzung, dann auch hinsichtlich methodischer Überlegungen und der Übertragung auf Länder mit wenig HTA-Know-how erforscht wurde, folgte aufgrund der Verankerung in der Patientenrechte-Richtlinie von 2011 eine weitere Phase mit drei „Joint Actions“, an der nunmehr bis 2020 die von den Mitgliedsstaaten benannten zuständigen HTA-Institutionen freiwillig kooperieren.

Eine gemeinsame HTA-Methodik mit neun Dimensionen – das „Core Model“ – ist erarbeitet und an einigen Gesundheitstechnologien für gemeinsame HTA-Berichte genutzt worden: Im Rahmen der zweiten Joint Action 2012-2015 wurden so 3 „volle“ und 12 kürzere, auf die klinischen Aspekte konzentrierten Berichte produziert, in der dritten Joint Action seit 2016 bisher insgesamt 9 Berichte. Dass dies für die Anzahl neuer Gesundheitstechnologien völlig ungenügend ist, ist eindeutig zu erkennen – d.h. Länder ohne eigene, oder erst mit im Aufbau begriffenen HTA-Institutionen bekommen so die für ihre Entscheidungen notwendigen Grundlagen nicht geliefert.

Aber auch die großen Länder wie Deutschland oder Frankreich mit großen HTA-Institutionen stehen vor einzeln nicht lösbaren Herausforderungen: (1) Im Gegensatz zur Zulassung, die auf Grundlage von immer noch häufig Plazebo-kontrollierten Studien Patienten mit zahlreichen Einschluss- und Ausschlussbedingungen und mit oftmals nur klinischen Endpunkten erfolgt, zielt HTA auf die Nutzung von Daten, die möglichst eine Aussage für „alle“ Betroffenen Patienten erlauben, und zwar zu patientenrelevanten Endpunkten und im Vergleich zu einer bisher genutzten Alternative. Doch woher sollen diese Daten kommen, wenn jedes Land im Extremfall unterschiedliche Vorstellungen zu den möglichen Subgruppen an Patienten, den relevanten Endpunkten und der zu berücksichtigenden Alternative hat? (2) Neue Medizinprodukte, bzw. Verfahren mit Medizinprodukten, kommen im Gegensatz zu Arzneimitteln auch in den großen Ländern, trotz von vielen vorgebrachten entsprechenden Forderungen, praktisch immer noch ohne HTA angewendet (und vergütet) – Hauptproblem ist hier ein Mangel (bzw. oftmals ein Fehlen) an methodisch soliden Studien.

An den genannten Punkten setzt jetzt der Kommissionsvorschlag an:

(1) Zu wesentlichen Gesundheitstechnologien – nämlich zentral zugelassenen Arzneimitteln sowie Medizinprodukten hoher Risikoklassen, für die es ein wissenschaftliches Gutachten der mit der EU-Medizinprodukte-Verordnung neu geschaffenen Expertengruppe gibt – werden europäische HTA zu 4 der 9 Dimensionen des Core Models verpflichtend (zur Indikation und den bisher eingesetzten Technologien sowie der neuen Technologie, ihrer Sicherheit und Wirksamkeit); so stehen diese HTA-Bewertungen unmittelbar allen Mitgliedstaaten zur Verfügung, die auf dieser Grundlage ihre eigenen Entscheidungen zur Aufnahme in den Leistungskatalog treffen können.

→ Ein unmittelbarer Mehrwert ergäbe sich durch die bisher nur in wenigen Ländern durchgeführten Bewertungen zu **Medizinprodukten**; hier ist es auf jeden Fall sinnvoll, die durch die neue EU-Medizinprodukte entstehenden Synergien zum Aufbau eines EU-weiten HTA-Systems wie im Kommissionsvorschlag ausgeführt zu nutzen. Auch bzgl. **Orphan Drugs** sollte der europäische Mehrwert durch

verpflichtende gemeinsame Bewertungen allgemein einleuchten und unmittelbar wirksam eingeführt werden. Eine weitere Gruppe von Arzneimitteln, bei der die verpflichtende europäische Bewertung unbestritten sinnvoll sein dürfte, sind diejenigen, die **durch „adaptive pathways“ beschleunigt zugelassen** werden und bei denen Studiendaten im üblichen Umfang bei der Zulassung (noch) fehlen.

(2) Den Entwicklern von Arzneimitteln und Medizinprodukten wird angeboten, deutlich vor der Markteinführung „gemeinsame wissenschaftliche Konsultationen“ zu beantragen (was derzeit zumeist als „frühzeitige Dialoge“ bezeichnet wird); dadurch soll erreicht werden, dass Studien hinsichtlich eingeschlossener Patienten, Subgruppen, Kontrollen und Endpunkte so geplant und durchgeführt werden können, dass die für die EU-weite Zulassung *und* für ein sinnvolles HTA notwendigen Daten dann auch vorhanden sind. Dies lässt sich nur auf europäischer Ebene erreichen, da es der Mitwirkung der Europäischen Arzneimittel-Agentur EMA bedarf.

→ Es würde Sinn machen (und wäre im Sinne sowohl der besseren Datenverfügbarkeit als auch des Marktzugangs), wenn die beiden Instrumente verknüpft würden, d.h. dass genau die Arzneimittel (jenseits Orphans und über „adaptive pathways“ zugelassenen) **verpflichtenden europäischen HTAs unterzogen werden, für die ein frühzeitiger Dialog stattgefunden hat** (dessen Ergebnisse dann auch eine Grundlage des HTA bilden). Nebeneffekt wäre eine gewisse zeitliche Verzögerung bis zum Scharfstellen bei diesen Produkten.

Für Fälle, in denen die Hersteller diese Konsultationen nicht beantragen, soll der dritte Baustein des Kommissionsvorschlags, nämlich ein „Horizon Scanning“ nach sich noch in der Entwicklung befindlichen Technologien einzuführen, dazu beitragen, dass sich die europäischen HTA-Agenturen, und damit die Mitgliedstaaten, besser auf die Bewertung vorbereiten können – auch dies ein nicht zu unterschätzender Mehrwert.

→ Bei diesen Arzneimitteln könnte es ggf. Sinn machen, den Mitgliedstaaten zu erlauben, die europäischen HTA selbst zu ergänzen; dadurch würde sich der Anreiz für Hersteller vergrößern, „gemeinsame wissenschaftliche Konsultationen“ zu beantragen.

Zusammenfassend: Die Zielsetzung und die vorgeschlagenen Instrumente setzen also an lange bekannten Schwachpunkten von HTA in der EU an. Weitere Verbesserungen (z.B. hinsichtlich der verpflichtenden Vorlage von Studiendaten durch die Hersteller) sollten noch beim weiteren Gesetzgebungsprozess berücksichtigt werden, insbesondere um für die Festlegung der Verfahrensvorschriften durch die Kommission bereits gesetzliche Vorgaben zu formulieren.