

**VFA-Positionspapier  
„Kosten-Nutzen-Bewertung für Arzneimittel“**

Der VFA akzeptiert die vorgesehene Kosten-Nutzen-Bewertung von Arzneimitteln, wenn diese – im Gegensatz zu der bisher praktizierten Nutzen-Bewertung – nach international akzeptierten Standards durchgeführt wird. Wichtige Elemente sind:

- ein hohes Maß an Transparenz der Entscheidungen,
- die Beteiligung der Patienten, der Kostenträger, der Industrie sowie national und international anerkannter medizinischer und ökonomischer Sachverständiger,
- die konsequente Umsetzung international anerkannter Standards und Evaluationsmethoden.

**Seite 1/15**

Der VFA begrüßt die Feststellung, dass die Erforschung moderner Arznei- und Therapiemethoden in Deutschland weiter honoriert werden soll. Dieses sichert den Patienten den Zugang zum medizinischen Fortschritt und eine Versorgung auf höchstem Niveau. In diesem Zusammenhang erscheint es konsequent, dass neue innovative Wirkstoffe festbetragsfrei bleiben und dass neue Arzneimittel nach ihrer Zulassung grundsätzlich zu Lasten der GKV verordnungsfähig sind. Forschung zur Entwicklung innovativer Arzneimittel muss sich auch in Deutschland lohnen.

Bei der Bewertung des Kosten-Nutzen-Verhältnisses von Arzneimitteln ist der Patient in den Mittelpunkt zu stellen. Der Patientennutzen verdeutlicht sich aber nicht nur durch Lebensdauer, Lebensqualität und Krankheitsdauer. Diese Beschränkung ist weder sachgerecht noch kann sie allen Indikationen und Perspektiven entsprechen.

Um die Wirtschaftlichkeit unter Realbedingungen abzubilden, bedienen sich gesundheitsökonomische Evaluationen vielfach Modellierungen als auch anderer empirischer Evaluationstechniken. Erst dadurch können Budgetwirkungen für die Kostenträger sowie gesamtgesellschaftliche Auswirkungen abgeschätzt werden. Randomisierte klinische Studien können dieses nicht allein leisten. Erforderlich ist vielmehr eine Methodenoffenheit, welche die Studienformen berücksichtigt, die am Besten den Nutzen und die relevanten Kosten abbilden können.

Der VFA stimmt ausdrücklich dem Prinzip zu, dass den Fachkreisen ausreichend Zeit eingeräumt wird, valide Erkenntnisse über neue Arzneimittel zu sammeln. Ziel ist, die Kosten-Nutzen-Bewertung unter Alltagsbedingungen vorzunehmen. Dazu sind seriöse Daten der Versorgungsforschung unabdingbar. Je nach Indikation kann eine sachgerechte Kosten-Nutzen-Bewertung somit erst nach einigen Jahren der Anwendung eines Arzneimittels erfolgen. Dabei muss die Umsetzung der Bewertung durch ein faires und offenes Verfahren geprägt sein, wodurch die Akzeptanz der endgültigen Entscheidung des G-BA erhöht wird.

Hausvogteiplatz 13  
10117 Berlin  
Telefon 030 20604-0  
Telefax 030 20604-222  
[www.vfa.de](http://www.vfa.de)Hauptgeschäftsführerin  
Cornelia Yzer

**VFA-Position**

Die Bundesregierung hat in ihrem Papier „Eckpunkte zu einer Gesundheitsreform 2006“ vom 4. Juli 2006 in Unterpunkt 6. „Arzneimittelversorgung“ unter anderem die Einführung einer Kosten-Nutzen-Bewertung vorgesehen:

Zitat Eckpunktepapier

*„Kosten-Nutzen-Bewertung*

*Um eine angemessene Grundlage für Preisverhandlungen und Erstattungshöhen zu erhalten, wird die bestehende Nutzen-Bewertung für Arzneimittel zu einer Kosten- Nutzen-Bewertung erweitert. Dabei sind auch andere Behandlungsformen zu berücksichtigen. Diese Bewertung ist keine zusätzliche Zulassungsvoraussetzung. Einzelheiten siehe Anlage 5.“*

Seite 2/15

Zur vertiefenden Erläuterung beschreibt die Bundesregierung in Anlage 5 des Eckpunktepapiers den Hintergrund sowie die mit der Einführung der Kosten-Nutzen-Bewertung einhergehenden gesundheitspolitischen Zielsetzungen. Anhand dieser übergeordneten Ziele soll ein Vorschlag entwickelt werden, wie die Kosten-Nutzen-Bewertung in Deutschland umzusetzen ist.

Zitat Eckpunktepapier

*„Der bisherige gesetzliche Auftrag des IQWiG wird zu einer Kosten-Nutzen-Bewertung erweitert. Die zentrale Entscheidungsbefugnis verbleibt beim Gemeinsamen Bundesausschuss. Der Gemeinsame Bundesausschuss hat die Entscheidungen in einer angemessenen zeitlichen Frist zu treffen.“*

Obgleich noch viele offene und schwerwiegende Fragen bestehen, begrüßt der VFA die Entscheidung, die bisherige rein medizinische Nutzenbewertung um die Bewertung der Kosten zu erweitern, da grundsätzlich Entscheidungen im Gesundheitswesen über Ressourcen immer eine Abwägung von Nutzen und Kosten sind.

Nutzen und Kosten können nur bewertet werden, wenn die Bezugsperspektive eindeutig ist. Internationalen Standards entsprechend sind hier die Kostenträger- und die gesellschaftliche Perspektive zu nennen. Dies bedeutet, dass möglichst alle Nutzen und Kosten, die in einem Behandlungsprozess einer Intervention zuzuordnen sind, zu berücksichtigen sind. Neben den in der Kostenträgerperspektive zu berücksichtigenden direkten Nutzen und Kosten, z. B. entstandene oder vermiedene Aufwendungen für Therapie, sind deshalb auch indirekte Nutzen und Kosten, z. B. Produktionsausfälle wegen Krankheit, einzubeziehen. Intangible Nutzen und Kosten, die Effekte umfassen, die sich nicht in messbaren Einheiten ausdrücken lassen, wie z. B. psychosoziale Belastungen, müs-

sen gesondert aufgeführt werden, bleiben aber bei der Kosten-Nutzen-Bewertung zunächst unberücksichtigt.

Der VFA begrüßt weiter die Entscheidung, dass der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) als zentrales Entscheidungsgremium den Auftrag zur Kosten-Nutzen-Bewertung zu erteilen hat. Dazu muss die Rolle des IQWiG als Auftragsinstitut der Gemeinsamen Selbstverwaltung mit seiner Beratungsfunktion für den G-BA herausgestellt werden. Dieses setzt voraus, dass der Generalauftrag des G-BA an das IQWiG in Richtung einer spezifischen Auftragsvergabe auf Basis eines breiten Bewertungsprogramms verändert werden muss.

Das Auftragsprogramm für das IQWiG sollte durch den G-BA frühzeitig bekannt gegeben werden, damit Gelegenheit besteht, sämtliche Evidenz, die für eine Kosten-Nutzen-Bewertung in Deutschland erforderlich ist, zu erfassen, auszuwerten und weiter zu leiten. Internationalen Standards entsprechend erfordert eine Bewertung nach objektiven und nachvollziehbaren Kriterien die Einbeziehung aller relevanten Beteiligten in allen Stadien des Kosten-Nutzen-Bewertungsprozesses. Insgesamt bedeutet dies, dass der G-BA vor der abschließenden Auftragsvergabe an das IQWiG ein Mehrjahresprogramm aufstellt. Dadurch haben sowohl Hersteller als auch andere unabhängige Interessengruppen die Gelegenheit, durch Studien weiterführende Informationen bereitzustellen, welche in die Bewertung einfließen können. Das Programm ist mit dem Bundesministerium für Gesundheit abzustimmen, um eine Koordination mit anderen Forschungsvorhaben des Bundes zu gewährleisten.

**Seite 3/15**

Zu den relevanten Beteiligten zählen insbesondere Patienten und Patientenorganisationen, Therapeuten und medizinische Fachgesellschaften, betroffene Hersteller und deren Verbände sowie anerkannte Sachverständige auf dem Gebiet der medizinischen und ökonomischen Evaluation von Gesundheitsleistungen und -programmen.

Zu den Stadien des Bewertungsprozesses zählen die Aufstellung des Bewertungsprogramms durch den G-BA, die Ausarbeitung des Bewertungsplans einschließlich der Bewertungskriterien sowie des Bewertungszeitraums für den jeweiligen Bewertungsauftrag durch den G-BA, die kritische Diskussion des Vorberichts sowie die endgültige Abgabe der Bewertung des IQWiG an den G-BA.

Folgende Punkte sind zur Erfüllung dieser Ziele im Rahmen der Gesetzesnovellierung zu berücksichtigen:

- Die bisherigen Regelungen des § 35b SGB V (Bewertung des Nutzens von Arzneimitteln) sind durch die Bewertung des Kosten-Nutzen-Verhältnisses zu ersetzen.
- In § 35b sind die an der Bewertung einzubeziehenden Beteiligten zu benennen.
- In den §§ 35b bzw. 139b SGB V ist auf die Aufstellung eines Mehrjahresprogramms zur Bewertung des Kosten-Nutzen-

Verhältnisses von Arzneimitteln durch den G-BA bzw. das IQWiG sowie auf die enge Abstimmung mit dem Bundesministerium für Gesundheit hinzuweisen.

- In den §§ 91 und 139b SGB V (Gemeinsamer Bundesausschuss sowie Aufgabendurchführung durch das IQWiG) ist die zeitliche Dimension der Aufgabendurchführung durch das IQWiG sowie die darauf basierende Entscheidung durch den G-BA zu spezifizieren. Ferner ist die gesellschaftliche Perspektive als maßgeblich für die Entscheidung des G-BA festzulegen.

Zitat Eckpunktepapier

*„Der medizinische Zusatznutzen neuer Arzneimittel wird auf Antrag ermittelt und wirtschaftlich durch eine Kosten-Nutzenbewertung bewertet. Diese ist Grundlage für die Festsetzung der Erstattungshöhe dieser Arzneimittel. Neue, innovative Wirkstoffe bleiben festbetragsfrei. Ihr Anteil an der Versorgung wird in den nächsten Jahren stark zunehmen. Für sie werden angemessene, faire Erstattungshöhen in der GKV ermittelt, welche die Leistungen der Unternehmen berücksichtigen und zugleich die Versicherten vor finanzieller Überforderung schützen.“*

**Seite 4/15**

Die Einführung neuer Arzneimittel legitimiert sich durch ihren medizinischen Zusatznutzen gegenüber herkömmlichen Therapien bzw. durch ihr günstigeres Kosten-Nutzen-Verhältnis bei vergleichbarer medizinischer Effektivität. Die Wissenschaft bietet für die Ermittlung des Kosten-Nutzen-Verhältnisses verschiedene international anerkannte Methoden an, deren Einsatz sich nach der zu bewertenden Nutzendimension und dem zu betrachtenden Bewertungszeitraum richtet. Methoden der Wahl sind die Kosten-Nutzwert-Analyse (cost-utility-analysis) sowie die Kosten-Effektivitäts-Analyse (cost-effectiveness-analysis).

Generell sind Kosten-Nutzen-Bewertungen nur äußerst eingeschränkt für die Preisfestsetzung bzw. -verhandlung von therapeutischen Interventionen geeignet. Sie sollten in jedem Fall auf für alle Beteiligte transparenten und objektiven Kriterien basieren, die sich an international etablierten Standards orientieren. Hier sind bestimmte Festlegungen unabdingbar; beispielsweise spielt für die Kosten-Nutzen-Relation von Therapien für chronische Erkrankungen die Diskontierung der Kosten und der Nutzen eine entscheidende Rolle. Dazu ist der gesamte Krankheitsverlauf in die Kalkulation mit einzubeziehen.

Aus der Feststellung, dass der medizinische Zusatznutzen sowie die Bewertung des Kosten-Nutzen-Verhältnisses auf Antrag zu ermitteln ist folgt, dass der G-BA den Auftrag spezifisch an das IQWiG erteilt. Dem entsprechend muss der Auftrag des G-BA an das IQWiG das oder die zu bewertenden Arzneimittel und Indikationen explizit benennen, wie auch die in die Bewertung einzubeziehenden pharmazeutischen und weiteren therapeutischen Alternativen.

Da der medizinische Zusatznutzen einer therapeutischen Intervention im Verlauf der Zeit auf weitere Indikations- bzw. Einsatzgebiete erweitert werden kann, und dieser dem entsprechend nicht unmittelbar und für alle Zukunft feststeht, ist die Bewertung nach einer angemessenen Zeit zu überprüfen. Dabei ist den relevanten Beteiligten ein gesondertes Antragsrecht einzuräumen, da Studien zur Erlangung neuer Evidenz nicht in erster Linie durch die Gemeinsame Selbstverwaltung initiiert werden.

Der VFA begrüßt, dass die Bundesregierung weiterhin den Patienten den Zugang zu innovativen Wirkstoffen in Deutschland offen hält. Nur wenn sich Forschung zur Entwicklung innovativer Arzneimittel auch in Deutschland weiterhin lohnt, werden die Patienten in unserem Lande auf Dauer am medizinischen Fortschritt teilhaben können, ohne dass sich die Zweiklassenmedizin weiter verfestigt.

**Seite 5/15**

Folgende Punkte sind zur Erfüllung dieser Ziele im Rahmen der Gesetzesnovellierung zu berücksichtigen:

- In § 35b bzw. § 139b ist auf die Notwendigkeit der gesonderten Beauftragung einer Kosten-Nutzen-Bewertung durch den G-BA hinzuweisen.
- Der Gesetzgeber sollte klare Vorgaben zur Ausarbeitung einer Verfahrensordnung vorsehen. Dabei müssen Kernpunkte wie Transparenzgebot und Bewertungskriterien vorgegeben sowie die Einhaltung von allgemein akzeptierten internationalen Standards überprüft werden.
- Der G-BA hat die Kosten-Nutzen-Bewertungen bei Vorliegen neuer Evidenz in einer angemessenen Zeit zu überprüfen. Den Herstellern ist ein gesondertes Antragsrecht zur Überprüfung einer erfolgten Kosten-Nutzen-Bewertung einzuräumen. Die Anträge der Hersteller sind zu veröffentlichen. Folgt der G-BA den Anträgen der Hersteller nicht, so ist die Ablehnung zu begründen.

Zitat Eckpunktepapier

*„Die Umsetzung der Kosten-Nutzenbewertung erfolgt durch sachgerechte Vergleiche nicht nur mit anderen Arzneimitteln, sondern auch mit anderen Behandlungsformen.“*

Eine valide Kosten-Nutzen-Bewertung durch das IQWiG bzw. die durch das IQWiG beauftragten unabhängigen Sachverständigen wird nur dann möglich sein, wenn a priori, d. h. vor Beginn der durchzuführenden Bewertung, die zu vergleichenden alternativen Arzneimittel oder Behandlungsformen festgelegt werden. Diese Aufgabe obliegt nicht dem Bewerter, sondern dem Auftraggeber, also dem G-BA.

Um einen sachgerechten Vergleich zwischen verschiedenen Therapiealternativen zu ermöglichen, hat sich international die Arbeit mit gesundheitsökonomischen Modellen etabliert. Diese Modelle erlauben es unter anderem

- direkte Vergleiche (Head-to-Head) zu simulieren, d. h. die Nutzen und Kosten von Behandlungsalternativen zu ermitteln und zu bewerten, für die keine direkten medizinischen Vergleichsstudien vorliegen;
- langfristige Effekte von Therapien zu bewerten, die über den klinischen Zeithorizont hinausgehen, bei denen Nutzen und Kosten zeitlich auseinander fallen oder aber die dauerhaft angewendet werden müssen. Beispiele sind Impfprogramme, Krebstherapien sowie die Behandlung chronischer Erkrankungen;
- Daten aus verschiedenen Datenquellen zu kombinieren, wie z. B. Daten aus verschiedenen klinischen Studien, Daten der Versorgungsforschung sowie ökonomische Kostenevaluierungen;
- die Robustheit der Ergebnisse in Bezug auf eine Variation der für die Berechnung maßgeblichen Parameter zu überprüfen, wie z. B. der Diskontrate, der Rate der Nebenwirkungen, der Wahrscheinlichkeit der Wiederaufnahme einer Beschäftigung oder Unsicherheiten anderer Ressourcen- bzw. Nutzenparameter;
- Aussagen über Therapieprogramme insgesamt und die Budgetwirkungen für die Kostenträger abzuleiten, z. B. im Rahmen einer Kohortenanalyse.

**Seite 6/15**

Bei der Bewertung des Kosten-Nutzen-Verhältnisses von Arzneimitteln sowie anderer Behandlungsformen muss sichergestellt sein, dass die einzubeziehenden Studien für die jeweiligen Verfahren von vergleichbarer methodischer Qualität sind. Ferner ist zu prüfen, ob die jeweilige Studienanlage auch vergleichbare Ziel- bzw. Nutzenparameter berücksichtigt.

Folgende Punkte sind zur Erfüllung dieser Ziele im Rahmen der Gesetzesnovellierung zu berücksichtigen:

- In § 35b ist auf die Aufstellung einer Verfahrensordnung hinzuweisen. Dabei ist die explizite Nutzung gesundheitsökonomischer Modelle bzw. anderer geeigneter Evaluationsformen festzulegen.
- Der Gesetzgeber sollte bei der Nutzung von Modellanalysen ein Transparenzgebot vorgeben. Ein sachverständiger Dritter muss in die Lage versetzt werden, ein für die Bewertung maßgebliches Modell innerhalb einer angemessenen Zeit voll und ganz nachvollziehen zu können. Das Transparenzgebot gilt gleichermaßen für das IQWiG wie auch für eingereichte Modelle durch die relevanten Beteiligten.

Zitat Eckpunktepapier

*„Die Kosten-Nutzenbewertung berücksichtigt die Belange der Patienten, aber auch die der Kostenträger angemessen. Beim Patientennutzen werden insbesondere eine Verlängerung der Lebensdauer, die Verbesserung der Lebensqualität und die Verkürzung der Krankheitsdauer berücksichtigt. Bei der wirtschaftlichen Bewertung werden neben dem Patientennutzen auch die Angemessenheit und Zumutbarkeit einer Kostenübernahme durch die Versichertengemeinschaft angemessen berücksichtigt.“*

Der VFA begrüßt die explizite Nennung der Belange der Patienten und des Patientennutzens. Es entspricht internationalen Standards bei der Bewertung von Therapien, unter anderem Behandlungseffekte auf Lebensdauer, Lebensqualität und Krankheitsdauer mit einzubeziehen. Allerdings zeigen diese Standards auch, dass der Patientennutzen sehr viel mehr Dimensionen umfasst. Zu nennen wären hier unter anderem die Kriterien der Compliance-Sicherung, der Belastung der pflegenden Angehörigen (Caregivers), der Kostenbelastungen der Patienten sowie der Patientenzufriedenheit. Die Nutzenparameter, welche bei der jeweiligen Bewertung heranzuziehen sind, sollten aus diesem Grund in Abhängigkeit von der zu beurteilenden Situation bzw. dem zu bewertenden Arzneimittel in dem Bewertungsplan explizit festgelegt werden.

Seite 7/15

Der VFA begrüßt, dass es Ziel der wirtschaftlichen Bewertung ist, den Patientennutzen gegenüber den durch die Therapiekosten entstandenen Kosten zu Lasten der Versichertengemeinschaft abzuwägen. Gleichzeitig müssen die gesamtgesellschaftlichen bzw. volkswirtschaftlichen Effekte einer Therapie mit in den Abwägungsprozess aufgenommen werden. Nur so kann den Entscheidungsträgern ein ganzheitliches Bild der Tragweite einer Therapie gewährt werden.

Folgende Punkte sind zur Erfüllung dieser Ziele im Rahmen der Gesetzesnovellierung zu berücksichtigen:

- Die Beteiligung der Patienten an allen Stadien des Bewertungsprozesses ist durch geeignete Regelungen in § 35b zu gewährleisten.
- Die ganzheitliche Berücksichtigung des Patientennutzens muss im Rahmen der Verfahrensordnung durch das IQWiG als auch bereits in der Beauftragung durch den G-BA sichergestellt werden. Deshalb sollte der Bewertungsplan des IQWiG mit dem G-BA sowie den weiteren Beteiligten wie Patientenvertretern, medizinischen und ökonomischen Sachverständigen sowie den Herstellern abgestimmt werden.

Zitat Eckpunktepapier

*„Die Verfahrensordnung für die Kosten-Nutzenbewertung wird dem internationalen Standard auf hohem Niveau entsprechen. Zu ge-*

*währleisten sind insbesondere hohe Transparenz, angemessene Beteiligung externen medizinischen Sachverständs, der Patienten und der Industrie, Gewährleistung sachgerechter und international üblicher akzeptierter Standards für den Nachweis von Kosten und Nutzen."*

Der VFA begrüßt, dass sich die Kosten-Nutzen-Bewertung an internationalen Standards zu orientieren hat. Der erzielte Konsens im von der Europäischen Gemeinschaft geförderten multinationalen EUROMET-Projekt sowie die Standards der bereits etablierten internationalen Bewertungsinstitutionen können eine Richtschnur geben. Dazu gehört auch der Prozess vor, während und nach einer Bewertung. Ferner sind die langjährigen Erfahrungen des deutschen Health-Technology-Assessment (HTA) Programms und die hierfür vom Deutschen Institut für medizinische Dokumentation und Information (DIMDI) entwickelten Kriterien zu nutzen. Gerade die dort etablierten Kriterien für die medizinisch-ökonomische Bewertung geben eine methodische Orientierungshilfe. In der Anlage ist eine kurze Übersicht über die grundsätzliche Ausrichtung einzelner Bewertungsinstitutionen aufgeführt.

**Seite 8/15**

Es ist selbstverständlich, dass bei der Kosten-Nutzen-Bewertung die Ergebnisse aus randomisierten kontrollierten klinischen Studien, Kohortenstudien, Metaanalysen, Ergebnissen der Versorgungsforschung sowie ökonomischen Kostenstudien herangezogen werden. Allerdings muss das Ziel der Bewertung die Abschätzung von Nutzen und Kosten unter realen Bedingungen des medizinischen Alltags und nicht in einer Welt klinischer Studien sein.

Auf Dauer werden sich Entscheidungen auf Basis der Bewertung des Kosten-Nutzen-Verhältnisses nur dann durchsetzen, wenn eine breite Transparenz sowie die Einbeziehung aller Beteiligten gewährleistet sind. Der Gesetzgeber muss den G-BA beauftragen, entsprechende Verfahrensrichtlinien zu entwickeln und umzusetzen. Dabei ist von besonderer Bedeutung, dass die Einhaltung international anerkannter Methoden gewährleistet wird. Dazu ist es erforderlich, dass alle relevanten Beteiligten in den Prozess der Methodendefinition mit einbezogen werden. Dieses kann auch dadurch erfolgen, dass z. B. die Mitglieder des wissenschaftlichen Beirates des IQWiG auf Vorschlag der verschiedenen Spitzenverbände im Gesundheitswesen eingesetzt werden.

Folgende Punkte sind zur Erfüllung dieser Ziele im Rahmen der Gesetzesnovellierung zu berücksichtigen:

- Der Gesetzgeber muss die wesentlichen Punkte der Verfahrensordnung verbindlich vorgeben. Dazu ist die Definition des Bewertungsprozesses sowie seiner einzelnen Meilensteine erforderlich.
- Die Zusammenarbeit der Gemeinsamen Selbstverwaltung, des IQWiG sowie von Herstellern und Patienten ist verbindlich zu regeln. Nach Feststellung des Mehrjahresprogramms durch den G-BA ist nach der spezifischen Auftragsvergabe

ein Steuerungstreffen durch das IQWiG mit den relevanten Beteiligten durchzuführen (Scoping-Workshop). Ziel ist, einen breiten Konsens zum Berichtsplan zu erreichen. Insbesondere sind die zu berücksichtigenden Nutzenparameter sowie die jeweils anzuwendende Methodik festzulegen. Eingaben sind vom G-BA bzw. IQWiG nach objektiven und nachvollziehbaren Gründen in einer angemessenen Zeit zu bewerten und zu beantworten.

- Der gesamte Bewertungsprozess, beginnend mit der Auswahl geeigneter Bewertungsgebiete durch den G-BA, über die Bewertung durch das IQWiG und endend mit der Entscheidung durch den G-BA, ist transparent und öffentlich zu gestalten. Zu jedem erreichten Meilenstein ist zeitnah Gelegenheit zur öffentlichen Stellungnahme zu gewähren. Betriebs- und Geschäftsgeheimnisse, die im Rahmen des Bewertungsprozesses dem IQWiG durch die Hersteller zur Verfügung gestellt werden, sind mit einem Einspruchsvorbehalt zu versehen. Vor der abschließenden Veröffentlichung müssen die Beteiligten die Möglichkeit des Einspruchs erhalten. Der G-BA hat jeden Einspruch zu bewerten, d. h. stattzugeben oder bei Ablehnung des Einspruchs die Gründe für die Ablehnung zu benennen.
- Da die Orientierung an internationalen Standards gewünscht ist, sollte der Gesetzgeber die Einbeziehung international anerkannter Sachverständiger in den Definitionsprozess der Verfahrensordnung sowie der anzuwendenden Bewertungsmethodik verbindlich festlegen. Sowohl die Verfahrensordnung als auch die Bewertungsmethodik sind abrufbar im Internet bereit zu stellen und innerhalb geeigneter Zeiträume zu aktualisieren.
- Die Spitzenverbände im Gesundheitswesen (Patientenorganisationen, Kostenträger, Hersteller, Leistungserbringer) sind an der Auswahl der Mitglieder des wissenschaftlichen Beirats des IQWiG zu beteiligen. Das Nähere sollte die Verfahrensordnung regeln.

**Seite 9/15**

Zitat Eckpunktepapier

*„Es bleibt beim Grundsatz, dass neue Arzneimittel nach Zulassung und Markteinführung grundsätzlich zu Lasten der GKV verordnungsfähig sind. Die Erstattungsfähigkeit wird nicht zurück gestellt, bis eine Kosten-Nutzenbewertung vorliegt. Die Kosten-Nutzen-Bewertung ist keine "Vierte Hürde". Den Fachkreisen ist ausreichend Zeit einzuräumen, valide Erkenntnisse über neue Arzneimittel zu sammeln.“*

Der VFA begrüßt die Feststellung, dass die Kosten-Nutzen-Bewertung keine zusätzliche Hürde für die Erstattungsfähigkeit darstellt. Außerdem begrüßt der VFA, dass ausreichend Zeit eingeräumt wird, bis valide Erkenntnisse über die Nutzen und Kosten neuer Arzneimittel vorliegen. Derzeit fehlen in der Regel Daten der Versorgungsforschung, welche die Kosten-Nutzen-Bewertung unterstützen. Ferner zeigen Ergebnisse internationaler Studien, dass

sich im Laufe der Zeit die Kosten-Nutzen-Relation durch Lerneffekte bei Patienten und Therapeuten verbessert, und dass das Arzneimittel über die Jahre auch bei weiteren Patientengruppen angewendet werden kann. Für beide Aspekte sind Anstrengungen auf Seiten der Hersteller und der öffentlichen Forschungsförderung notwendig. Anwendungsbeobachtungen und Kohortenstudien haben hier in der Vergangenheit wichtige zusätzliche Erkenntnisse geliefert, obgleich eine koordinierte und übergreifende Versorgungsforschung auf öffentlicher oder privater Seite derzeit nicht erfolgt.

Folgende Punkte sind zur Erfüllung dieser Ziele im Rahmen der Gesetzesnovellierung zu berücksichtigen:

**Seite 10/15**

- Das Ziel der Gewinnung valider Erkenntnisse über neue Arzneimittel unter Realbedingungen ist vom Gesetzgeber dahingehend zu spezifizieren, als dass Studienformen unter dem Aspekt der Versorgungsforschung bei inhaltlicher Relevanz und methodischer Eignung in die Bewertung einzubeziehen sind.
- Um den Fachkreisen die Datensammlung zu ermöglichen, ist das frühzeitige Aufstellen und Veröffentlichen des Mehrjahresprogramms durch den G-BA notwendig. Hierzu ist ein entsprechender Passus in dem Aufgabenkatalog des G-BA bzw. in der Zusammenarbeit zwischen IQWiG und G-BA aufzunehmen.

Zitat Eckpunktepapier

*„Die Kosten-Nutzen-Bewertung ist Grundlage für Therapiehinweise und Verordnungseinschränkungen in den Arzneimittelrichtlinien.“*

Der VFA begrüßt die Entscheidung der Bundesregierung, dass Therapiehinweise und Verordnungseinschränkungen zukünftig auf Basis einer umfassenden und transparenten Kosten-Nutzen-Bewertung vorgenommen werden. Ferner wird begrüßt, dass die Erkenntnisse aus Kosten-Nutzen-Bewertungen Rückwirkungen auf den Einsatz von Arzneimitteln in der täglichen medizinischen Praxis haben können. Es hat sich gezeigt, dass differenzierte Kosten-Nutzen-Bewertungen auf Unterschiede in der Kosteneffektivität von Behandlungen bei verschiedenen Indikationen, Patientengruppen und Therapeuten hinweisen können. Allerdings ist bei der Interpretation der Ergebnisse eine erhebliche Sorgfalt geboten. Insbesondere unter ethischen Aspekten ist eine tatsächliche Einschränkung der Verordnungsfähigkeit einer Therapieoption sorgfältig zu prüfen.

Folgende Punkte sind zur Erfüllung dieser Ziele im Rahmen der Gesetzesnovellierung zu berücksichtigen:

- Der Gesetzgeber hat die Unabhängigkeit der externen Sachverständigen, der Gutachter sowie der Mitarbeiter des IQWiG, welche in den Bewertungsprozess aktiv durch das IQWiG eingebunden werden, sicher zu stellen. Dazu müssen

alle Beziehungen der letzten zwei Jahre zu Interessenverbänden, Auftragsinstituten, Kostenträgern, Leistungserbringern und Herstellern offen gelegt werden. Die Begrenzung des Offenlegungszeitraums erfolgt zur Vereinfachung und Entstigmatisierung.

- Die Auswahl der externen Sachverständigen sowie der Gutachter hat auf Basis eines breiten Konsenses aller Beteiligten zu erfolgen. Dazu ist der Auswahlprozess einem geeigneten Gremium zur Entscheidung zuzuordnen, welches beim IQWiG oder beim G-BA zu institutionalisieren ist. Die Mitglieder dieses Gremiums sind auf Vorschlag der Gemeinsamen Selbstverwaltung, der Patientengruppen, der medizinischen Fachgesellschaften sowie der Hersteller auszuwählen.
- Vor der abschließenden Entscheidung des G-BA ist allen relevanten Beteiligten ausreichend Zeit zur Abgabe von Stellungnahmen zu gewähren. Jede Stellungnahme ist vom G-BA bzw. dem IQWiG nachvollziehbar zu bewerten, und allen Mitgliedern des G-BA vorzulegen.

## Übersicht internationaler Guidelines

Her- kunft der Empfeh- lung	Australien - Common Wealth Department	Kanada - Ontario	Finnland - Ministerium für Gesund- heit und Soziales	Nieder- lande - Empfehlungen für pharma- koökonomi- sche Studien	Schweden - LFN	Fran- kreich - Collège des Éco- nomistes de la Santé	Groß- britannien - NICE
Hinter- grund							
Autoren	Mitglieder des Pharma- ceuti-cal Benefit Advisory Committee (PBAC)	Gesund- heits- ministe- rium von Ontario	Ministerium für Gesundheit und Soziales	Beirat der Krankenversi- cherung	Mitglieder des Phar- maceutical benefits Board	Wissen- schaft und Industrie	Beirat (Wissen- schaft und NICE)
Jahr der letzten Überar- beitung	1995	-	-	1999	2003	2003	2004
Jahr der ersten Imple- mentie- rung	1993	-	1999	2000	2003	1997	2000
Zweck der Empfeh- lung	Leitlinie für die Sponso- ren von Studien zur Umsetzung und Darstel- lung klini- scher Effek- tivitätsdaten sowie eine Übersicht über die am weitesten verbreiteten Formen ökonomi- scher Evalu- ationen.	Leitlinie zur Kommuni- kation und Darstellung ökonomi- scher Sachver- halte bei Einrei- chung neuer Produkte (aber außerhalb der reinen Preisset- zung).	Darstellung einer ein- fachen Bewer- tung der Kosten von Arzneimitteln und anderer alternativen Therapien sowie Gegen- überstellung des jeweiligen Nutzen.	Darstellung der aktuellen internationalen Methodik für pharmakoöko- nomische Studien als Referenz für nachvollzieh- bare Schlussfol- gerungen über den therapeuti- schen Wert eines Arzneimit- tels.	Einfache Leitlinie mit der Dar- stellung wesentli- cher Grund- prinzipien ges.-ök. Studien, die für die Bewertung durch die LFN von Bedeutung sind.	Ausführli- che und strukturier- te Leitlinie für das Anfertigen ges.-ök. Studien.	Empfehlungen für das Einrei- chen von Eingaben durch Hersteller und Sponsoren von Technologien.
Zielgrup- pe	Hersteller (Unterneh- men, die eine Eingabe beabsichti- gen).	Hersteller	Hersteller	Ministerium für öffentliche Gesundheit, Soziales und Sport.	Hersteller	Autoren und Her- steller	Hersteller und Sponsoren
Methodik							
Perspek- tive	Gesellschaft- liche sowie Perspektive des Gesund- heitssektors (Kostenträ- ger).	Gesund- heitssektor (Kosten- träger) und/oder gesell- schaftliche Perspektive.	Gesellschaft- liche Perspektive	Gesellschaft- liche Perspektive	Gesell- schaftliche Perspektive	Gesell- schaftliche sowie Kosten- trägerper- spektive (inkl. Kranken- haus)	Kostenträger- bzw. Entschei- dungsträger- perspektive des NHS sowie der Pflegeversiche- rung (PPS)
Nutzen- para- meter	Effektivität als patien- tenrelevanter Nutzen. Lebensquali- tät (QoL)	Zunächst die Effekti- vität, dann die Effi- zienz. Nicht- monetärer Nutzen (QALYs), monetärer Nutzen (Zahlungs- bereitschaft) sowie anderer patienten- relevanter Nutzen.	-	Zunächst die Effektivität, dann die Effi- zienz. Lebensqualität (QALYs) sind als Index- oder Profilinstrument zu erheben.	QALYs als wesent- lichstes Effektivitätskriteri- um. Daneben gewonnene Lebensjah- re. Surrogat- parameter möglich. Dann aber Auswirkungen auf Morbidität und Morta- lität aufzei- gen.	Effektivität vor Effizienz. Finale Endpunkte, Surrogat- punkte, Lebensqua- lität (QALYs).	Langfristige Effektivität. Lebensqualität, Morbidität und Mortalität. Endpunkte.

Her- kunft der Empfeh- lung	Australien - Common Wealth Department	Kanada - Ontario	Finnland - Ministerium für Gesund- heit und Soziales	Nieder- lande - Empfehlungen für pharma- koökonomi- sche Studien	Schweden - LFN	Fran- kreich - Collège des Éco- nomistes de la Santé	Groß- britannien - NICE
Bevor- zugte Studien- formen	Kosten- Minimie- rungs- Analyse (CMA), Kosten- Effektivitäts- Analyse (CEA), Kosten- Nutzwert- Analyse (CUA)	Kosten- Konse- quenz- Analyse (CCA), CEA, CUA, Kosten- Nutzen- Analyse (CBA). Keine spezifische Präferenz für eine der Metho- den.	CMA, CEA, CUA, CBA. Auswahl der Methode muss begründet werden.	CEA oder CUA. Eine reine Kosten-Nutzen- Analyse sollte nicht erfolgen.	CUA, CEA, CBA.	CEA, CUA, CMA	CEA oder CUA. Subgruppen- analyse, soweit Unterschiede zu vermuten sind. Unterscheidung zwischen Hochrisikopati- enten und der allgemeinen Patientenpopu- lation.
Bewer- tung der Kosten- Effektivität	Inkrementel- les Kosten- Effektivitäts- Verhältnis (ICER)	Inkremen- telles Kosten- Effektivitäts- Verhältnis (ICER)	Inkrementelles Kosten- Effektivitäts- Verhältnis (ICER)	Inkrementelles Kosten- Effektivitäts- Verhältnis (ICER) sowie Gesamtkosten.	Inkremen- telles Kosten- Effektivitäts- Verhältnis (ICER)	Inkremen- telles Kosten- Effektivitäts- Verhältnis (ICER)	Inkrementelles Kosten- Effektivitäts- Verhältnis (ICER)
Modellie- rung	Ja, zur Abbildung patientenre- levanter Zustände und Ereignise, die nicht in einem RCT erhoben werden können. Methoden: Markov- Modelle, Entschei- dungs bäu- me, Monte- Carlo- Simulation.	Ja, zur Abbildung zukünftiger Kosten (gesamte Patienten- karriere). Der Zeithor- izont muss ausführlich begründet werden.	Ja, soweit sich die Behand- lungssituation verändert hat, und aktuelle (empirische) Daten nicht vorliegen.	Ja, soweit die primären Daten keinen ausrei- chenden Ein- blick in die langfristigen Effekte und Kosten ermög- lichen.	Ja, soweit keine guten empiri- schen Daten vorliegen. Insbeson- dere zur Übertra- gung internatio- naler Studiener- gebnisse auf die lokalen Verhältnis- se bzw. bei einem längerfris- tigen Zeitraumen sind Modelle gut geeignet.	Ja, um Nutzen und Kosten gleichzeitig zu analy- sieren. Insbeson- dere bei langen Bewer- tungs- zeiträu- men, indirekten Vergleichen sowie zur Kalkulation von Bud- geteffek- ten.	Ja. Modelle schließen die Lücke zwischen Wirksamkeit und Effizienz, indem sie beide Perspektiven integrieren.
Umgang mit Unsi- cherhei- ten	Sensitivitäts- analyse aller primären Nutzenpara- meter sowie der Annah- men. Das ICER muss als 95% Konfidenz- intervall angegeben werden.	Sensitivi- tätsanalyse um die Robustheit der Schlussfol- gerungen zu belegen.	Sensitivitäts- analyse, soweit die zu Grunde liegenden Daten unsi- cher sind.	Sensitivitäts- analyse, soweit die zu Grunde liegenden Daten unsicher sind.	Alle unsi- cheren Parameter müssen einer Sensitivi- tätsanalyse unterzogen werden.	Alle unsi- cheren Parameter müssen einer Sensitivi- tätsanalyse unterzogen werden.	Sensitivitäts- analysen, soweit ein Modell entwi- ckelt wurde. 95 % Konfidenz- intervall der Kosten, soweit ein RCT Basis der Kosten- Effektivitäts- Analyse ist.

## Literaturhinweise

- (1) Behrend C, Greiner W, Hessel F, Hoffmann C, Leidl R, Mühlberger N et al.: **Ansätze und Methoden der ökonomischen Evaluation - eine internationale Perspektive.** Bericht Nr. 9 (1999). Nomos Verlagsgesellschaft, Baden-Baden. Reihe Health Technology Assessment.
- (2) Bestehorn K, Biller M, Brecht J, Clouth J, Fricke F, Glaeske G et al.: **Deutsche Empfehlungen zur gesundheitsökonomischen Evaluation - Revidierte Fassung des Hannoveraner Konsens.** In: Gesundheitsökonomie & Qualitätsmanagement 4 (1999): S. A62 - A65.
- (3) Chiou CF, Hay JW, Wallace JF, Bloom BS, Neumann PJ, Sullivan SD et al.: **Development and validation of a grading system for the quality of cost-effectiveness studies.** In: Medical Care 41 (2003) Nr. 1: S. 32 - 44.
- (4) Hjelmgren J, Berggren F, Andersson F: **Health economic guidelines--similarities, differences and some implications.** In: Value Health 4 (2001) Nr. 3: S. 225 - 250.
- (5) Hoffmann C, Schulenburg J-MGvd: **The influence of economic evaluation studies on decision making: A European survey.** In: Health Policy 52 (2000) Nr. 3: S. 179 - 192.
- (6) Kristensen F, Chamova J, Hansen N: **Toward a sustainable European Network for Health Technology Assessment.** In: Bundesgesundheitsblatt - Gesundheitsforschung - Gesundheitsschutz 49 (2006) Nr. 3: S. 283 - 285.
- (7) Kulp W, Greiner W: **Gesundheitsökonomie und HTA.** In: Bundesgesundheitsblatt - Gesundheitsforschung - Gesundheitsschutz 49 (2006) Nr. 3: S. 257 - 263.
- (8) Murray CJ, Evans DB, Acharya A, Baltussen RM: **Development of WHO guidelines on generalized cost-effectiveness analysis.** In: Health Econ 9 (2000) Nr. 3: S. 235 - 251.
- (9) Ramsey S, Willke R, Briggs A, Brown R, Buxton M, Chawla A et al.: **Good research practices for cost-effectiveness analysis alongside clinical trials: The ISPOR RCT-CEA task force report.** In: Value in Health 8 (2005) Nr. 5: S. 521 - 533.

- (10) Schopen M, Rüther A: **Health Technology Assessment: Sauerstoff des Gesundheitswesens.** In: Bundesgesundheitsblatt - Gesundheitsforschung - Gesundheitsschutz 49 (2006) Nr. 3: S. 223 - 224.
- (11) Schulenburg Graf von der JM, Hoffmann C: **Review of European guidelines for economic evaluation of medical technologies and pharmaceuticals.** In: HE-PAC Health Economics in Prevention and Care 1 (2000) Nr. 1: S. 2 - 8.
- (12) Weinstein MC, O'Brien B, Hornberger J, Jackson J, Johannesson M, McCabe C et al.: **Principles of good practice for decision analytic modeling in health-care evaluation: Report of the ISPOR task force on good research practices-modeling studies.** In: Value in Health 6 (2003) Nr. 1: S. 9 - 17.
- (13) Zentner A, Velasco-Garrido M, Busse R: **Methoden zur vergleichenden Bewertung pharmazeutischer Produkte.** Bericht Nr. 122 (2005). Deutsches Institut für Medizinische Dokumentation und Information (DIMDI). Reihe Health Technology Assessment.