

Stellungnahme Janssen-Cilag zur Methodik für die Bewertung von Verhältnissen zwischen Nutzen und Kosten im System der deutschen gesetzlichen Krankenversicherung, Version 1 vom 24. Januar 2008

Wir begrüßen die Möglichkeit einer Stellungnahme zum ersten Entwurf der Methodik für die Bewertung von Verhältnissen zwischen Nutzen und Kosten im System der deutschen gesetzlichen Krankenversicherung (Kosten-Nutzen-Bewertung) vom 24. Januar 2008. Mit unserer Stellungnahme hoffen wir, zu einem konstruktiven Dialog zwischen Partnern im Gesundheitssystem beizutragen, welcher im Sinne eines transparenten Verfahrens wünschenswert ist und die gegenseitige Unterstützung in der Beantwortung offener Fragen fördert.

Wir halten den vom IQWiG zusammen mit seinem internationalen Beirat vorgelegten ersten Entwurf für einen respektablen Startpunkt zur Diskussion und zur Entwicklung einer auf die Spezifika des deutschen Systems abgestimmten Methodik der Kosten-Nutzen-Bewertung. Im folgenden erlauben wir uns einige Punkte aufzuzeigen, die unserer Ansicht nach noch einer Verbesserung bedürfen. Dabei beziehen wir uns zunächst auf verfahrenstechnische Aspekte und in zweiter Linie auf methodische Gesichtspunkte.

1. Verfahrenstechnische Aspekte

1.1 SGB V, § 35b, Abs. 1, S. 1: "...den Nutzen oder das Kosten-Nutzen-Verhältnis..."

Durch die Verknüpfung von Nutzen und Kosten-Nutzen-Verhältnis im §35b SGB V durch ein "oder" bringt der Gesetzgeber zum Ausdruck, dass es sich bei der Nutzenbewertung und bei der Kosten-Nutzen-Bewertung um zwei unterschiedliche Verfahren handelt. Das bedeutet auch, dass sie nicht zwingend aufeinander aufbauen müssen und ihnen unterschiedliche Methoden zugrunde gelegt werden können. Dieser Wortlaut beschränkt die Vorgehensweise also nicht auf ein zweistufiges Verfahren, wie vom IQWiG vorgeschlagen und vom Expertenkomitee eingehalten.

Wenn das IQWiG an dem vorgeschlagenen zweistufigen Verfahren festhalten möchte, dann bedarf es allerdings einer Änderung der Aufgreifkriterien zur Durchführung einer Kosten-Nutzen-Bewertung. Bisher ist nur bei erwiesenem Zusatznutzen eine Kosten-Nutzen-Bewertung vorgesehen. Bei Nutzengleichheit und unklaren Nutzenverhältnissen soll das Instrumentarium der Kosten-Nutzen-Bewertung nicht zum Einsatz kommen, sondern - so wird implizit deutlich - ein reiner Preisvergleich durchgeführt werden. Das ist sachlich nicht gerechtfertigt, denn der Gesetzgeber sieht eine Bewertung von Kosten und Nutzen, nicht

von Preis und Nutzen, vor, da auch in diesen Fällen durchaus Unterschiede in den Nettokosten zu einem überlegenen Kosten-Nutzen-Verhältnis einer der verglichenen Therapien führen können (z.B. bei Prozessinnovationen). Bei Nutzengleichheit sollte daher grundsätzlich eine Kosten-Minimierungsanalyse als Unterform der Kosten-Nutzenanalyse erfolgen, bei unklaren Nutzenverhältnissen eine Kosten-Nutzen-Analyse. Ansonsten sind gravierende Fehlentscheidungen des SpiBuKK zu befürchten, da effizienzsteigernde Technologien möglicherweise nicht genutzt werden.

Ein Beispiel wäre eine Antibiotikatherapie, die eine dreimaltägliche zweistündige intravenöse Therapie durch eine einmal tägliche orale Einnahme ersetzen könnte. Auch bei nach Zulassungskriterien gemessener Äquivalenz der Effektivität und Nebenwirkungen könnte eine solche Therapie erhebliche Prozessverbesserungen mit sich bringen, die nur in einer ökonomischen Analyse nachgewiesen werden könnten.

Eigentlich wäre der Schritt zu einer Kosten-Nutzen Bewertung nur dann **nicht** notwendig, wenn eine Unterlegenheit bei allen relevanten Parametern deutlich wäre. Selbst bei Unterlegenheit bzgl. einzelner Parameter könnte eine gleichzeitige Überlegenheit bei anderen Parametern zu einer verbesserten Kosten-Effektivität führen.

1.2 SGB V, § 35b, Abs. 1, S. 4: "...Angemessenheit und Zumutbarkeit einer Kostenübernahme durch die Versichertengemeinschaft angemessen berücksichtigt"

Der Begriff der Versichertengemeinschaft ist im Gesetz nicht auf die Gesetzliche Krankenversicherung eingeschränkt, sondern umfasst auch alle anderen solidarisch finanzierten Versicherungen, wie z.B. die Gesetzliche Rentenversicherung, die Arbeitslosenversicherung und die Gesetzliche Pflegeversicherung. Das IQWiG schlägt in seinem Methodenpapier jedoch vor, als Standardfall die Perspektive der Gesetzlichen Krankenversicherung einzunehmen und nur in Ausnahmefällen die weiteren Sozialversicherungszweige einzubeziehen. Der Begriff Versichertengemeinschaft legt aber nahe, dass immer die Perspektive aller Sozialversicherungszweige einzunehmen ist.

Wir schlagen daher vor, dass das IQWiG standardmäßig alle Sozialversicherungszweige berücksichtigt und nur in begründeten Ausnahmefällen Einschränkungen vornimmt.

1.3 Beteiligung der Fachkreise und Patienten

Derzeit geht weder aus dem allgemeinen Methodenpapier Version 3, noch aus dem vorliegenden Entwurf einer Kosten-Nutzen-Methodik hervor, wie und in welchem Umfang Fachkreise im Prozess der Kosten-Nutzen-Bewertung beteiligt sind. Internationalen Beispielen

folgend schlagen wir eine Beteiligung aller Fachkreise und betroffener Patienten(-verbände) an der Formulierung der Forschungsfragen, der Definition der einer spezifischen Bewertung zugrunde liegenden Nutzen- und Wertkonzepte und der damit verbundenen Kostenparameter vor. Dies schließt insbesondere auch die aktive Beteiligung betroffener pharmazeutischer Unternehmen durch das IQWiG ein und umfasst auch die Berechtigung zur Einreichung von ökonomischen und klinischen Studiendaten und Kosten-Nutzen-Analysen sowie deren Würdigung durch das IQWiG.

Als besonderes Manko - das allerdings außerhalb des Einflussbereichs des IQWiG liegt - sehen wir es an, dass über die Konsequenzen einer Kosten-Nutzen-Analyse, also die Setzung eines Höchstbetrags, ausschließlich der Spitzenverband Bund der Krankenkassen entscheidet. Wir fordern daher das IQWiG auf, im politischen Prozess auf diesen Mangel hinzuweisen und eine Einbeziehung von mindestens der Ärzteschaft und der Patienten bei der Entscheidung über den Höchstbetrag anzumahnen.

1.4 Offene Fragen bei einer indikationsspezifischen Betrachtungsweise

Mögliche Inkonsistenzen können auftreten, wenn eine Therapie Zusatznutzen aufweist, aber dennoch nicht als kosteneffektiv gilt, weil z.B. die Vergleichspräparate seit langem generisch und billig sind. Eine solche Therapie könnte trotzdem gesamtgesellschaftlich kosteneffektiv und wünschenswert sein (z.B. bei einem Vergleich zu neuen Behandlungen in anderen Indikationen, deren Kosten mit teureren Vergleichstherapien verglichen werden). Ohne Involvierung von Sachexperten und Patienten könnten solche Therapien als "nicht-kosteneffektiv" klassifiziert werden und darum einem unangemessen niedrigen Höchstbetrag unterliegen, da in einer Indikation mit geringem Kostenniveau bei Fortschritten auch nur geringe Zusatzkosten akzeptiert werden.

Dieses Problem wird durch die Annahme (s.u. Punkt 2.2) verstärkt, dass Zusatznutzen und Zusatzkosten eine proportionale bzw. lineare Relation bestehen muss.

Das Methodenpapier macht keine Aussagen darüber, wie mit dem Phänomen umzugehen ist, dass Präparate in mehreren Indikationen zugelassen sind und eingesetzt werden. In diesem Fall können Fehlentscheidungen entstehen. Denn in diesem Fall entsteht der Gesamtnutzen des Präparates für die Versichertengemeinschaft aus der Anwendung in allen zugelassenen Indikationen, das Methodenpapier sieht aber nur die Bewertung in einer Indikation vor. Je nach Indikation kann es aber zu unterschiedlichen Kosten-Nutzen-Verhältnissen und damit Höchstpreisen kommen (z.B. wegen unterschiedlicher Vergleichspräparate oder unterschiedlicher Nutzen- und Kostenparameter).

Die Setzung eines Höchstbetrags aufgrund einer (Teil-) Nutzen- und Kosten-Nutzen-Bewertung, d.h. in nur *einer* Indikation, kann insofern zu Fehlanreizen in der Forschung führen, als die Neuentwicklung einer Substanz in einer weiteren Indikation, und damit mögliche Verbesserungspotentiale in der Versorgung, künftig unterbleiben.

Um die oben angesprochenen Probleme zu vermeiden, müssten methodische Ansätze entwickelt werden.

1.5 Aktualisierung vorhandener Ergebnisse im Zeitablauf

Aus den vorliegenden Methoden ist derzeit ebenfalls nicht zu erkennen, ob und in welchen Zeitabständen bestehende Bewertungen aktualisiert werden sollen. Des Weiteren bleibt unklar, wie neue Evidenz berücksichtigt werden soll.

2. Methodische Aspekte

Insgesamt erscheint das vorliegende Methodenpapier mehr auf die einer Kosten-Nutzen-Bewertung (KNB) zugrunde gelegten **Evaluationskonzepte** einzugehen als dass es die anzuwendenden **Methoden** selbst erläutert. Es geht nur sehr eingeschränkt auf die einer solchen Bewertung notwendigerweise zugrunde liegenden technischen Einzelheiten ein und verweist stattdessen auf die nicht veröffentlichten "technischen Anhänge".

In den Grundlagen der ökonomischen Bewertung (Kap. 2; S.6-7 der engl. Originalversion) werden allerdings **zentrale Annahmen, die dem gesamten Methodenpapier zugrunde liegen**, zum Ausdruck gebracht, die die Basis für die Fortschreibung der Effizienzgrenze bilden und die wir für problematisch halten. Diese zentralen Annahmen sind:

2.1 Kardinale Nutzen (*cardinal value*)

(...) the measure of value needs to be at a cardinal level, i.e. such that it is meaningful to say that A produces not only more value than B (i.e., ordinal level of measurement), but rather X times more value.

Die Mechanik einer KN-B setzt voraus, dass die Größen, die in einer KN-Relation in Beziehung gesetzt werden, quantitativ und somit kardinal sind. Dennoch sind mit der vorgeschlagenen Methode Probleme verbunden:

- Zunächst stellt sich die Frage, ob "Nutzen", wie er im klinischen Studien gemessen und wie er im Methodenpapier definiert wird, überhaupt kardinalisierbar ist. Die grundsätzliche Transformierbarkeit von ordinalem zu kardinalen Nutzen ist in der ökonomischen Literatur umstritten, ebenso wie die Umsetzbarkeit dieses Konzeptes¹.
- Eine solche Kardinalisierung durch Experten ist ein reduktionistischer und subjektiver Ansatz, der die Prinzipien der EbM verlässt (eminence-based vs. evidence-based), fundamentale wissenschaftstheoretische Annahmen verletzt und auch den sonstigen IQWiG-Methoden widerspricht.
- Nutzen wird auf diese Weise auf ein rein technisches Maß verkürzt. Es ist nicht erkennbar, wie und ob überhaupt die Wertung aus Sicht der Versicherten bzw. Patienten in diese Nutzenkonzept einfließt
- Sofern das IQWiG eine expertenbasierte Bewertung durchführt, ist es aus unserer Sicht essentiell, dass die relative Wertschätzung von Patientennutzen (Kardinalisierung) auch durch die Patienten selbst (mit-)definiert wird.
- Ebenso wichtig ist es in diesem Zusammenhang, von einer Aggregation verschiedener Nutzen in ein Nutzenmaß abzusehen und alle Nutzenoutcomes getrennt abzubilden, wie am 26.2.2008 auf den IQWiG-Symposium bestätigt. Es wäre zu begrüßen, wenn dies auch im Methodenpapier klarer formuliert würde.

Unser Vorschlag ist daher, eine *systematische Bewertung* der Relevanz von Nutzenkriterien *durch die Betroffenen* vorzunehmen und zumindest die Annahme der Kardinalität zu prüfen. Von einem einzigen, aggregierten Maß sollte aus den genannten Gründen abgesehen werden.

2.2 Linearer Grenznutzen (*linear incremental value*) und Konzept der Opportunitätskosten (*alternative value*)

If intervention A costs twice as much as intervention B, then twice as much alternative value is sacrificed when someone buys A rather than B. To justify this choice to the purchaser, A should produce at least twice as much value as B."

Diese Annahme unterstellt eine Gleichheit von Kosten (*cost*) und Opportunitätskosten (*alternative value*) und einen mit der Menge linear proportional steigenden (kardinalen) Nutzen (*value*). Weiterhin wird gefordert, dass die Nutzen linear proportional zu den (Opportunitäts-)kosten (*alternative value*), d.h. die Grenznutzen linear sein sollen (*alternative value = cost* und $\Delta \overset{!}{cost} = \Delta \overset{!}{alternative\ value} = \Delta \overset{!}{value}$).

¹ Gold MR et al. 1996, Cost-Effectiveness in Health and Medicine, Oxford University Press, New York.

Diese Annahmen des Methodenpapiers sollen an einem Beispiel veranschaulicht werden: wenn ein LCD-Breitbild-Flachbildschirm doppelt so teuer ist wie ein konventioneller Röhrenbildschirm, so wird postuliert, dass beim Kauf eines Flachbildschirms auch ein doppelt so hoher Nutzenentgang (durch den Nicht-Kauf zweier Röhrenbildschirme) entsteht ("*twice as much alternative value is sacrificed*" d.h. *alternative value = cost*). Daraus wird im zweiten Schritt abgeleitet, dass der Nutzen eines Flachbildschirmes mindestens doppelt so hoch sein müsse wie der Nutzen eines Röhrenbildschirms, denn für dasselbe Geld könnte der Käufer ja alternativ zwei Röhrenbildschirme kaufen.

Diese Argumentation unterstellt also, dass aus einer Verdopplung desselben Gutes (und der dafür anfallenden Kosten) auch doppelt so viel Nutzen folgt und dass, im Umkehrschluss, bei Ausgabe doppelt so hoher Kosten für ein alternatives Gut auch ein doppelt so hoher Nutzenentgang eintritt, d.h. dass eine Verdoppelung der Kosten einer Verdoppelung der Opportunitätskosten entspricht.

Dafür fehlt jede Grundlage: Der Nutzen aus zwei Röhrenbildschirmen muss keineswegs identisch mit dem zweifachen Nutzen eines Röhrenbildschirms sein (und ist es in aller Regel auch nicht; es gibt keinen Grund zu der Annahme, dass der zweite Röhrenbildschirm für den Käufer (noch) denselben Nutzen hat, wie der erste). Es gibt daher auch keinen Grund zu der Annahme, dass der *entgangene Nutzen* von zwei Röhrenbildschirmen, d.h. die *Opportunitätskosten* des Flachbildschirms proportional zu seinen *Kosten* sein sollte. Opportunitätskosten sind keine Kosten im Sinne der Kosten- und Leistungsrechnung, sondern ein ökonomisches Konzept zur Quantifizierung entgangener Alternativen², und beide müssen sich nicht entsprechen.

Aus dieser unbasierten Annahme ($\Delta \text{ cost} = \Delta \text{ alternative value}$) - die Verdoppelung der Röhrenbildschirm-Kosten führt zu einer Verdoppelung der entgangenen Röhrenbildschirm-Nutzen - wird sodann fälschlicherweise gefolgert, dass auch Nutzen mindestens linear proportional zu Kosten steigen müssen ($\Delta \text{ cost} = \Delta \text{ value}$): Im Beispiel: Der Flachbildschirm muss mindestens doppelt so viel wie ein Röhrenbildschirm nutzen, da er doppelt so viel kostet.

Hier werden somit starke Annahmen über die Zahlungsbereitschaft der Versichertengemeinschaft getroffen. Dabei wird die ökonomische Logik auf den Kopf gestellt:

² Alchian, AA. 1972, Cost, in Sills D. (ed). International encyclopedia of social sciences, Vol. 3, S. 404-415.

- Üblicherweise determiniert der erzielte Mehrnutzen (*incremental value*) die zusätzliche Zahlungsbereitschaft für ein Gut (z.B. eine Behandlung). (Weil es soviel mehr Nutzen (*value*) stiftet, darf es soviel mehr kosten). Die Höhe der zusätzlichen Zahlungsbereitschaft muss hierbei nicht in einem linearen oder proportionalen Zusammenhang mit den Kosten (d.h. der Zahlungsbereitschaft) stehen: $\Delta \text{ cost } > \text{ oder } = \text{ oder } < \Delta \text{ value}$.
- Im Methodenpapier hingegen findet ein Rückschluss von Mehrkosten (Zahlungsbereitschaft) auf mindestens zu erzielenden Mehrnutzen statt (weil es soviel mehr kostet, muss es soviel mehr nutzen). Außerdem wird bei diesem Rückschluss ein linear proportionales Verhältnis von Kosten und Nutzen unterstellt, wofür keine theoretische oder empirische Grundlage besteht.

Die Interpretation des Begriffs "Angemessenheit" (vgl. SGB § 35 b Abs. 1, S. 4) als "doppelte Kosten erfordern mindestens doppelte Nutzen" oder "doppelter Nutzen darf maximal doppelt soviel kosten" lässt sich nicht aus den seit langem etablierten volkswirtschaftlichen Grundsätzen ableiten: Es handelt sich um eine willkürliche Festlegung. Die den Methoden zugrunde liegenden Annahme

$$\Delta \text{ cost} = \overset{!}{\Delta \text{ alternative value}} = \overset{!}{\Delta \text{ value}}$$

findet kein Fundament in der ökonomischen Wissenschaft und eignet sich daher nicht als Basis für die Fortschreibung der Effizienzgrenze, d.h. für die normative Ableitung der Zone einer akzeptierten Effizienz und damit auch eines Höchstbetrags. Wir empfehlen daher eine Überprüfung der Methoden zur Bestimmung der Zone einer akzeptierten Effizienz. Sofern dieser Ansatz dennoch verfolgt werden soll, sollte diese Problematik sowohl Erstellern von auf dieser Methodik basierenden Bewertungen als auch Entscheidungsträgern, die ihre Entscheidungen Bewertungen zugrunde legen, die nach dieser Methodik erstellt wurden, bewusst sein.