



# Methodische Fragen zur frühen Nutzenbewertung nach § 35a SGB V

Jürgen Windeler



# AMNOG

- Nutzenbewertung für Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen oder nach Zulassung eines neuen Anwendungsgebietes
- Frage nach dem Zusatznutzen
- anschließende Preisgestaltung abhängig vom Zusatznutzen

# Inhaltliche Eckpunkte

- Bewertung des Zusatznutzens zu einer zweckmäßigen Vergleichstherapie
- Dossierbewertung innerhalb 3 Monaten
- Mögliche Studienauflagen
- Mögliche Nutzenbewertung
- Mögliche Kosten-Nutzen-Bewertung
- „Sanktionen“ bei verspäteten oder unvollständigen Dossiers (kein Zusatznutzen)
- Einsichtsmöglichkeit in Zulassungsunterlagen

## Methodische Aspekte

### Basis: Rechtsverordnung (Stand 8.11.2010)

„Nutzen ... ist der patientenrelevante Effekt insbesondere hinsichtlich der Verbesserung des Gesundheitszustands ... oder einer Verbesserung der Lebensqualität“  
„Zusatznutzen ist ein ... höherer Nutzen“

→ Effekt = Vergleich zu Nichtanwendung

→ Nicht Compliance, Anwendernutzen

→ „oder“ ?

Nutzen und Zusatznutzen sind Verbesserungen in mindestens einem Kriterium unter Bewertung der Effekte in anderen.

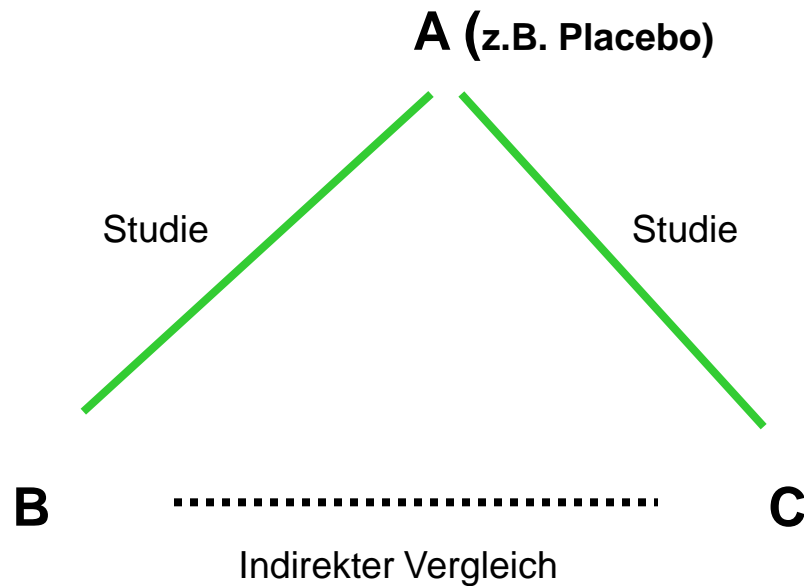
## **Methodische Aspekte**

### **Basis: Rechtsverordnung (Stand 8.11.2010)**

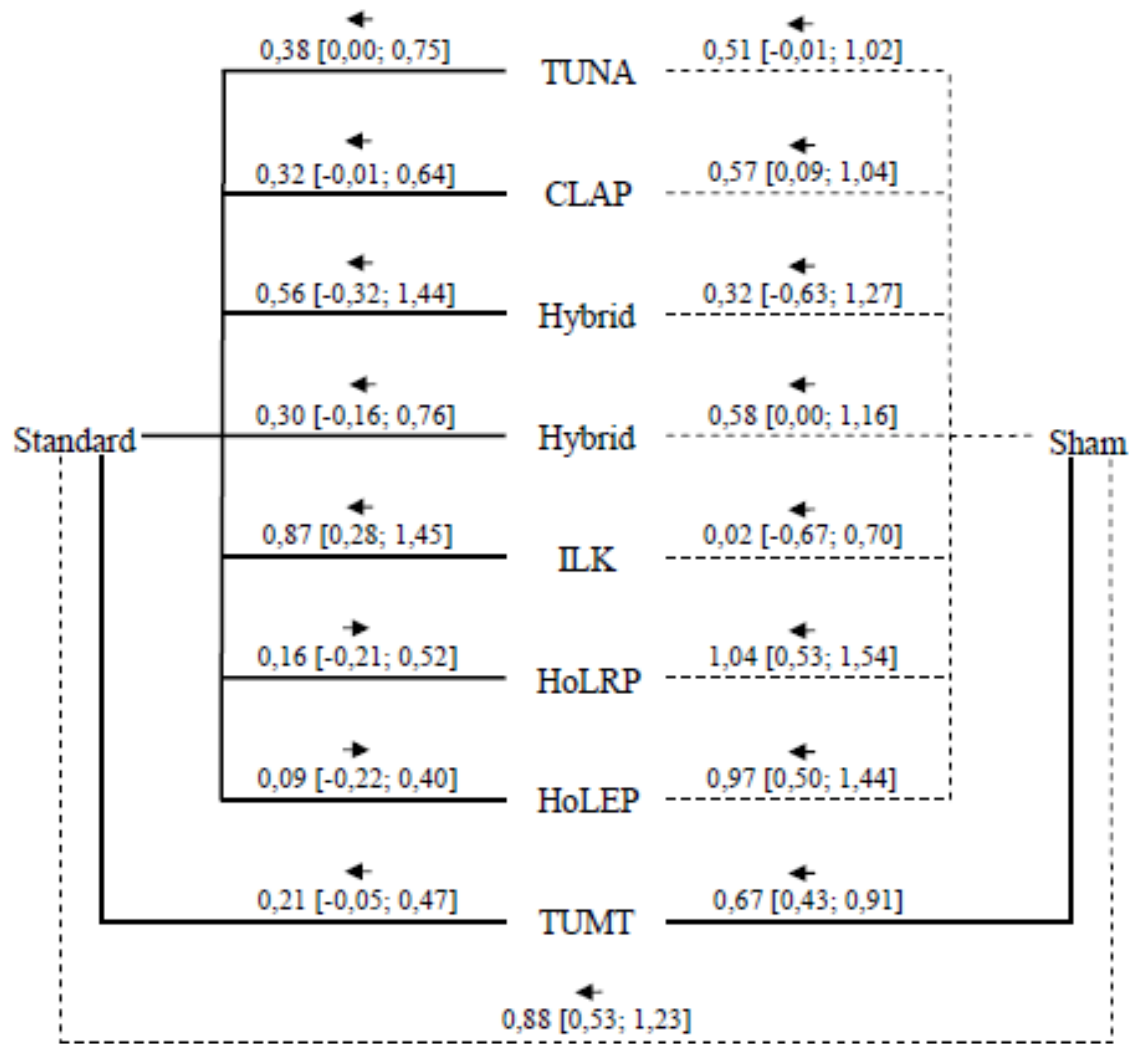
„Liegen keine klinischen Studien zum direkten Vergleich vor, ... sind im Dossier vollständige Angaben zu einem indirekten Vergleich zu machen“; „Nachweis eines Zusatznutzens durch indirekten Vergleich“

- Grundsätzlich methodisch tragfähiges Vorgehen
- !! Voraussetzungen-Rahmenbedingungen !!
- Im IQWiG bereits praktiziert
- (deutlich) größere Unsicherheit

## Methodische Aspekte Basis: Rechtsverordnung (Stand 8.11.2010)



„Sind zwei Größen einer dritten gleich, so sind sie untereinander gleich“



Erläuterungen: Geschätzte Effekte in Einheiten der SD [95 %-KI]

———— direkter Vergleich

- - - - - indirekter Vergleich

← Pfeil zeigt in Richtung der numerisch  
besseren Behandlung

## **Methodische Aspekte**

### **Basis: Rechtsverordnung (Stand 8.11.2010)**

„Der Zusatznutzen ist vom pharmazeutischen Unternehmer  
im Dossier nachzuweisen“

→ Unmissverständliche Festlegung der Beweislast mit  
klarer Festlegung des Beweismittels



## **Methodische Aspekte**

### **Basis: Rechtsverordnung (Stand 8.11.2010)**

„Sofern es unmöglich oder unangemessen ist, Studien höchster Evidenzstufe durchzuführen oder zu fordern, sind Nachweise der best verfügbaren Evidenzstufe einzureichen.“

→ Der G-BA hat in seiner VO die Anforderungen an Nachweise gem. 2. Halbsatz formuliert.

## **Methodische Aspekte**

### **Basis: Rechtsverordnung (Stand 8.11.2010)**

„mit welcher Wahrscheinlichkeit ... ein (Beleg für einen)  
Zusatznutzen vorliegt“

- Der Begriff „Wahrscheinlichkeit“ hat hier keine formale methodische Interpretation.
- zu verstehen als Zuverlässigkeit, Verlässlichkeit der Aussage
- In IQWiG-Methoden in der Differenzierung der Ergebnissicherheit („Hinweis“ und „Beleg“) umgesetzt.

## **Methodische Aspekte**

### **Basis: Rechtsverordnung (Stand 8.11.2010)**

„... in welchem Ausmaß ein (Beleg für einen) Zusatznutzen vorliegt“

#### **Abstufung des Zusatznutzens (6 Stufen)**

4. Ein Zusatznutzen kann nicht quantifizierbar sein, wenn die wissenschaftliche Datengrundlage dies nicht zulässt.
5. Es ist kein Zusatznutzen belegbar

→ Welcher Unterschied besteht methodisch zwischen 4. und 5 ?

→ Ein Zusatznutzen, der belegbar, aber nicht (grob) quantifizierbar ist, scheint eine eher ungewöhnliche Situation

## Methodische Aspekte

### Basis: Rechtsverordnung (Stand 8.11.2010)

Für Arzneimittel einer Wirkstoffklasse ist die gleiche zweckmäßige Vergleichstherapie heranzuziehen, um eine einheitliche Bewertung zu gewährleisten. ...

- Methodisch (und versorgungspraktisch) ist eine *zweckmäßige* Vergleichstherapie nicht statisch, sondern dynamisch
- Wenn Arzneimittel A einen (deutlichen) Zusatznutzen gegenüber der Vergleichstherapie B nachweist, wird sie bald zur neuen zweckmäßigen Vergleichstherapie werden können
- Bei mehreren zweckmäßigen Vergleichstherapien die mit der besten Evidenz wählen, insbes. die, für die direkte Vergleiche vorliegen

# Ergänzung des Arzneimittelgesetzes (AMG)

- Einführung § 42b „Veröffentlichung der Ergebnisse klinischer Studien“
- Verpflichtung der Hersteller mit dem Markteintritt „Berichte über alle Ergebnisse konfirmatorischer klinischer Prüfungen zu veröffentlichen“
- „alle Ergebnisse klinischer Prüfungen unabhängig davon, ob sie günstig oder ungünstig sind“

# Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG)

- Dillenburger Straße 27
- D-51105 Köln
- Telefon +49-221/3 56 85-0
- Telefax +49-221/3 56 85-1
- [info@iqwig.de](mailto:info@iqwig.de)
- [www.iqwig.de](http://www.iqwig.de)

