

Standards und Leitlinien in der Gesundheitsökonomie

3. Symposium Gesundheitsökonomie in der Dermatologie

22.März 2002, Hamburg

Dr. med. C. Kori-Lindner und Dr. med. R. Eberhardt, München

im Internet: http://www.kori-lindner.de/Info_Pharma/Pharmakooekonomie/

Gesetzliche Anforderungen an Wirtschaftlichkeitsuntersuchungen im Rahmen von Zulassungsverfahren für Arzneimittel existieren bisher nur in **Australien** und **Kanada** (Provinz Ontario).

Hingegen ist in keinem europäischen Land die Vorlage ökonomischer Evaluationsstudien gefordert

- weder für Arzneimittelzulassungen
- noch für erstattungspflichtige Medikationen
- noch für die Aufnahme in den Leistungskatalog des staatlichen Gesundheitssystems.

In Europa gibt es lediglich Empfehlungen, die keine bindende Wirkung für die Forschung in der Gesundheitsökonomie haben aber einen **Minimalstandard für die Methodik** empfehlen.

Empfehlungen zur gesundheitsökonomischen Evaluation liegen vor aus: Großbritannien, Frankreich, Deutschland, Italien, Dänemark und der Schweiz. In Spanien, den Niederlanden und Portugal sind die Papiere noch nicht abgeschlossen. Außerhalb Europas sind in den USA ebenfalls Empfehlungen veröffentlicht. Trotzdem gibt es aber noch viele Bereiche, die Länder- und fachgruppenspezifisch, sowie von Studie zu Studie unterschiedlich gehandhabt werden.

Eine **Standardisierung** bestimmter Teilbereiche kann zu einer besseren Vergleichbarkeit der Studien führen und einen Maßstab für ihre Qualität setzen.

Mit EUROMET, dem von der EU geförderten „European Collaboration in Measurement Standards“ wurden Versuche zur Standardisierung gestartet.

Auf diese Weise könnten auch Vorbehalte abgebaut werden, die ökonomischen Studien im Gesundheitsbereich entgegengebracht werden, da die Möglichkeit der methodischen Nachprüfung durch die Gegenüberstellung mit Richtgrößen besteht (Greiner, Hannover). Als ein wichtiges Hilfsmittel zur Entscheidungsfindung für den Einsatz von Arzneimitteln treten sie immer mehr in den Vordergrund

Unter dem steigenden Kostendruck im Gesundheitswesen haben sich auch in Deutschland die Maßstäbe einer Arzneimittel bzw. einer Therapiebewertung verschoben, von der Effektivität hin zur Effizienz.

Neue Maßstäbe der Bewertung:

Früher:

Effektivität - Wirksamkeit / Unbedenklichkeit eines Arzneimittels

- * Maßstab für Klinische Prüfung und Arzneimittelbewertung
- * Basis der Nutzen-Risiko-Beurteilung für Zulassung
- * Inhalte der Arzneimittelinformation und -Bewerbung

Heute:

Effizienz - Wirtschaftlichkeit eines Arzneimittels

- * Maßstab für Verordnungsfähigkeit zu Lasten der gesetzlichen Kassen
 - * Basis der Kosten-Nutzen-Bewertungen ("Positiv-Listen") für Arzneimittelinstitut, Arzneimittelrichtlinien, KVen, Kassen, Wirtschaftlichkeitsprüfungen der Vertragsärzte
- * Inhalte der Arzneimittelinformation und -Bewerbung

Neue Zielgruppen

Früher:

- * Verordnende Ärzte
- * überregionale und regionale Meinungsbildner

Heute:

- * Entscheidungsträger für Richtgrößen z.B.:
Institut für die Arzneimittelrichtlinien (AMR), KVen, etc.
- * Gutachter - "Bewerter" der Therapie und Arzneimittel z.B.:
KVen, Kassen, Arzneimittelinstitut, Rezeptprüfstellen, Pharmazeutische Beratungsdienste, "Konzertierte Aktion" beim BMG, Kassen, Arzneimittelkommission der Dt. Ärzteschaft, klinische Pharmakologen etc. und KV-Prüfärzte.
- * Sozioökonomische Meinungsbildner aus Instituten für Ökonomie, Epidemiologie, Medizinische Statistik etc.

Neue Informationsinhalte:

Früher:

- * Therapierelevante Informationen zur individuellen Nutzen-Risiko-Bewertung in der Patientenversorgung

Heute:

- * ökonomische Informationen zur individuellen und allgemeinen wirtschaftlichen Ordnungsweise (Wirtschaftlichkeitsgebot)
- * Wirksamkeits- und Kostenvergleiche mit konkurrierenden Arzneimitteln bei gleicher definierter Indikation und mit anderen herkömmlichen Therapieverfahren

Betrachtungsebenen

Die Betrachtungsebene der **klinischen Arzneimittelprüfungen** sind Wirksamkeit und Unbedenklichkeit zur Nutzen-Risiko-Abwägung in der Patientenversorgung

Die Betrachtungsebene der **Pharmakoökonomie** sind Wirksamkeit und monetäre Leistungen zur Nutzen-Kosten-Bewertung der individuellen patientenbezogenen Behandlungsstrategie des einzelnen Arztes im Vergleich zu anderen Therapiemöglichkeiten und in seiner Fachgruppe

(Eberhardt R, Kori-Lindner C. „Praktische Durchführung pharmakoökonomischer Studien in Pharmakoökonomie in Deutschland, E. Habrich Verlag 1995, 120 - 139).

Die Basis rationaler Entscheidungen über den Mitteleinsatz im Gesundheitswesen sind medizinische, ethische und wirtschaftliche Faktoren.

Ebenen der gesundheitsökonomischen Bewertung von Arzneimitteln

Die pharmakoökonomische Bewertung von Arzneimitteln erfolgt grundsätzlich auf 4 Ebenen:

- **Effektivität und Unbedenklichkeit** (klassische Nutzen-Risikobeziehung)
- **Kosten** (direkte, indirekte als Mengenfaktor)
- **Wirtschaftlichkeit** (im Vergleich zu alternativen Therapiemaßnahmen).
- **Finanzierbarkeit** (Sozialgesetzgebung)

Gesundheitsökonomische Studien werden heute nicht nur für die Frage eingesetzt, ob die Therapie mit einem neu zugelassenen Medikament wirtschaftlich vertretbar ist oder nicht,

sondern zunehmend für die Identifikation von Patientengruppen, bei denen die Kosten-Effektivität besonders gut oder besonders schlecht ist. Somit können diese Studien sowohl für Rationierungen als auch Priorisierungen der Pharmakotherapie eingesetzt werden.

(Weber C., Lauterbach K. W. in: Der Internist 2000, 41: Heft 4, S. 349 - 354)

Bewertungsgrundlagen zur Effektivität und Effizienz

Da der Begriff Guidelines bzw. Leitlinien bereits von Pharmakologen und Klinikern für den Bereich der klinischen Studien besetzt ist, spricht man im Bereich der sozioökonomischer Studien zumindest in Deutschland von Standards oder Empfehlungen, was bereits auf ihren unverbindlichen Charakter hinweist.

Effektivität

Zur Ermittlung der **Effektivität** - d. h. der Wirksamkeit und Unbedenklichkeit eines Arzneimittels liegen offizielle und verbindliche GCP-Direktiven, -Regularien oder zu beachtende Guidelines für die BRD, EU und den drei ICH-Regionen (Japan, USA, EU) vor. Von Guidelines kann und darf trotz ihres nicht verpflichtenden Charakters nur in begründeten Fällen abgewichen werden.

Die therapeutischen Endpunkte müssen eindeutig auf der Basis der klinischen Relevanz und nicht der statistischen Signifikanz definiert sein.

Für die Nutzen-Risikobeziehung, nicht –bewertung, sind die Wirksamkeits– und Unbedenklichkeitsparameter vor einer pharmakoökonomischen Fragestellung festzulegen. Basis hierfür sind diagnostische / therapeutische Leitlinien oder der Konsens von Fachexperten.

Effizienz

Zur Ermittlung der **Effizienz** - dies betrifft den Bereich der Pharmakoökonomie, liegen hingegen nur vor:

- inoffizielle, unverbindliche Standards unterschiedlicher Gruppierungen oder
- Empfehlungen bestimmter Konsensgruppen – bzw. Penals.

Damit Ergebnisse von gesundheitsökonomischen Evaluationsstudien valide interpretiert werden können, sind erforderlich:

- Mindestmaß an gemeinsamer Methodik

- ausreichender Transparenz.

Pharmakoökonomische Daten

Drei Daten-Arten werden für eine pharmakoökonomische Evaluation benötigt und miteinander kombiniert:

- Daten zu **Behandlungsergebnissen und Nebenwirkungen** von Behandlungen (z.B. Besserungsraten, Heilungsraten, Lebensverlängerung)
- Daten zum **Ressourcenverbrauch** unter der jeweils betrachteten Therapie (z.B. Anzahl und Art von Arztbesuchen, Anzahl und Dauer von Krankentagen / Krankenhausaufenthalten)
- **Informationen zu Kosten** primär als Mengeneinheiten und dann erst Kosten der einzelnen Ressourcen. (z.B. Kosten eines Krankenhaustages, Kosten eines Arztbesuches etc.)

Akzeptanz gesundheitsökonomischer Evaluationsstudien

Die Qualität gesundheitsökonomischer Evaluationsstudien wird anders als bei klinischen Studien nicht von einer staatlichen Stelle beurteilt und somit beaufsichtigt. Sie ist von Land zu Land, von Forschergruppe zu Forschergruppe und von Studie zu Studie unterschiedlich, da auch die jeweiligen Prämissen unterschiedlich gehandhabt werden. Wegen der **großen Heterogenität** und teils **geringen methodischen Qualität** sind die Ergebnisse gesundheitsökonomischer Evaluationsstudien insbesondere, wenn sie in unterschiedlichen Gesundheitssystemen generiert wurden, sehr schwer vergleichbar.

Verständlicherweise besteht bei Pharmakologen, Ärzten, KVen und Krankenkassen häufig Skepsis gegenüber den Studienergebnissen und ihrer Bewertung und sie werden wenig akzeptiert.

Ferner führen einheitliche **Währungen**, wie der **Euro** in der EU, dazu Studienergebnisse von einem Land in das andere direkt zu übertragen, jedoch werden dabei die unterschiedlichen Sozialsysteme, aus denen die Daten gewonnen wurden, außer Acht gelassen.

Deutsche Empfehlungen zur gesundheitsökonomischen Evaluation

1996 wurden deshalb in Deutschland von der Konsensgruppe „Gesundheitsökonomie“ Empfehlungen entwickelt, die als „1. Hannoveraner Konsens“ veröffentlicht wurden. Sie vermitteln Standards ohne den methodischen Fortschritt und wissenschaftliche Freiheit in der Gesundheitsökonomie einzuengen.

Ca 1999 ergab sich, dass sich Methodik und Anforderungen an Studien weiterentwickelten und eine Revision erforderlich wurde. Die offene Gruppe erweiterte sich um Vertreter aus Wissenschaft, Industrie, Krankenkassen und Ärzteschaft.

Studiendesign

Ein Studienprotokoll zu medizinischen, ökonomischen und statistischen Fragestellungen und Verfahren muss vor Beginn einer jeglichen Erhebung erstellt werden. Die Studie soll analog den wissenschaftlichen Gepflogenheiten konzipiert und aufgebaut

werden. Dazu gehört die Darstellung der Zielsetzung, stringente Herleitung der Hypothesen, Angaben zur Methodik, Begründung der zu bewertenden Alternativen sowie Definition der Perspektive und der Zielpopulation.

Studienformen

Gesundheitsökonomische Studien lassen sich nach Art der untersuchten Zielgrößen und nach ihrem analytischen Ansatz klassifizieren.

Die Wahl der Analyseart hängt vom Studiengegenstand und dem Zweck der Studie ab und ist entsprechend zu begründen.

| Untersuchungsart | Aussageebene, Quantifizierung |
|-----------------------------------|---|
| Kosten-Minimierungs-Analyse (CMA) | Kostengrößen unter Annahme der klinischen Ergebnisgleichheit |
| Kosten-Wirksamkeits-Analyse (CEA) | Kostengrößen, gleichartige Ergebnisgrößen |
| Kosten-Nutzwert-Analyse (CUA) | Kostengrößen, aus verschiedenen Ergebnisgrößen zusammengesetzte Nutzwertgröße |
| Kosten-Nutzen-Analyse (CBA) | Kostengrößen, Ergebnisgrößen in Geldeinheiten |

Perspektive

Als Perspektive wird der Standpunkt bezeichnet, aus dessen Sicht die Kosten und Nutzen erfasst und bewertet werden. Neben der gesellschaftlichen / volkswirtschaftlichen Perspektive sind andere Perspektiven möglich (z.B. Sichtweise der Krankenkassen, Krankenhausverwaltungen, Ärzte, Patienten). Die Perspektivenwahl muss begründet und logisch aus der Fragestellung herausgearbeitet werden.

Alternativenwahl

Das Ziel einer gesundheitsökonomischen Evaluation besteht im krankheitsspezifischen Vergleich einer Therapie mit Handlungsalternativen. Der Vergleich soll vor dem Hintergrund einer möglichst vollständigen Beschreibung der Versorgungspfade vorgenommen werden. In der Studie soll ein Vergleich mit der häufigsten, der klinisch wirksamsten oder der effizientesten Handlungsalternative vorgenommen werden. Dabei muss gegebenenfalls auch die Alternative der Nichtbehandlung berücksichtigt werden. Die Wahl der Referenzalternative(n) ist zu begründen.

Validität und Datenquellen

Die Datenquellen für gesundheitsökonomische Evaluationsstudien betreffen sowohl Informationen zur medizinischen Wirksamkeit bestimmter Handlungsalternativen, als auch Informationen zu ökonomischen Folgen dieser Handlungsalternativen. Weiterhin sollten ökonomische, medizinische und epidemiologische Rahmenbedingungen der Versorgung berücksichtigt werden.

Kostenermittlung

Grundsätzlich sind alle für die gewählte Perspektive relevanten Kosten und Ergebnisgrößen zu ermitteln und zu berücksichtigen.

Als direkte Kosten sollen alle **Ressourcenverbräuche** inklusive Kapital- und Verwaltungskosten aufgeführt werden, die mit der medizinischen Behandlung in Zusammenhang stehen.

Direkte medizinische Kosten entstehen unmittelbar durch die Behandlung (z.B. Kosten der Medikamente, Personalkosten).

Es wird empfohlen **Zeitkosten** mit dem durchschnittlichen Einkommen zu bewerten und dabei die geschlechtsunterschiedlichen Einkommen zu beachten.

Als direkte nicht-medizinische Kosten sollen alle durch die Folgen der Behandlung oder Erkrankung hervorgerufenen Ressourcenverbräuche aufgeführt werden (z.B. Diät- oder Transportkosten). Ist die untersuchte Maßnahme Teil einer Gesamtbehandlungsstrategie bzw. bedingt sie Notfall- oder Folgetherapien, sollten nach Möglichkeit alle durch die Maßnahme verursachten Veränderungen des weiteren Ressourcenverbrauchs ermittelt und diese getrennt von den Preisen als Mengeneinheiten ausgewiesen werden.

Erhebung der Ergebnisparameter

Die Eignung von Ergebnisparametern hängt sowohl von der Indikation als auch von der Fragestellung der ökonomischen Evaluation ab. Im Rahmen der dadurch vorgegebenen Bandbreite können sowohl mortalitäts- und morbiditätsbezogene Parameter als auch klinischer, nicht-intermediärer Status, lebensqualitätsbezogene Ergebnisse und ähnliche Parameter Verwendung finden. Die Wahl der Ergebnisparameter ist vorab zu treffen und zu begründen

Zeithorizont

Die Wahl des Zeithorizonts hängt von dem Studiengegenstand ab und kann von wenigen Wochen bis zu mehreren Jahren bei chronischen Krankheiten reichen. In jedem Fall ist der gesamte Zeitraum zu wählen, in dem ein Einfluß einer Handlungsalternative auf den Ressourcenverbrauch, die Effektivität, den Nutzwert oder die Lebensqualität zu erwarten bzw. durch Daten belegt ist.

Diskontierung

Wenn Kosten und/oder Erträge über mehr als ein Jahr anfallen, ist die Berechnung von Gegenwartswerten notwendig, um eine Vergleichbarkeit der Zahlungen und des assoziierten Nutzens zu gewährleisten. Vorgeschlagen werden 5% p.a. und Sensitivitätsanalysen für 0%, 3% und 10% durchzuführen.

Sensitivitätsanalyse

Bei zentralen Parametern ist mittels Sensitivitätsanalysen der Einfluss von unsicheren und/oder geschätzten Kosten- und Ergebnisparametern auf das Resultat einer ökonomischen Evaluation zu untersuchen.

Publikation der Ergebnisse

Gesundheitsökonomische Studien müssen transparent sein. Ihre Qualität hängt damit auch vom Umfang ihrer Publizität ab. Die Publikation der Ergebnisse sollte möglichst in Zeitschriften erfolgen, die vor Veröffentlichung ein internes Begutachtungsverfahren (Peer-Review) durchführen.

Gemeinsamkeiten und Unterschiede der Empfehlungen

Von W. Greiner und Ch. Hoffmann (Hannover) wurden 10 Kriterien herausgearbeitet, die einen Überblick über Gemeinsamkeiten und Unterschiede der Empfehlungen erlauben.

Zusätzlich wurde von ihnen eine Prüfliste zur Übertragbarkeit ausländischer Studienergebnisse auf Deutschland erstellt.

Die 10 Kriterien, nach denen man vorgehen sollte:

- **Gründe für die Entwicklung** der Empfehlungen
z.B. effizienter Einsatz von Ressourcen
- **Vergleichsparameter**
z.B. Vergleich mit der klinisch wirksamsten Handlungsalternative
- **Studiendesign**
z.B. Empfehlung einer bestimmten Studienform
- **Zeithorizont**
z.B. ausschließlich langfristige Betrachtungsweise
- **Perspektive**
z.B. gesellschaftliche oder individuelle Betrachtungsweise
- **Datenquellen**
z.B. klinische Versuche oder Meta-Analysen
- **Kostenermittlung**
z.B. Einbeziehung indirekter Kosten
- **Diskontierung**
z.B. Höhe des Diskontierungszinssatzes
- **Outcome-Messung**
Einbeziehung gesundheitsbezogener Lebensqualität
- **Sensitivitätsanalyse**
z.B. Variationsbreite der Variablen
- **Modellierung**
z.B. Herleitung der Hypothesen.

Gemeinsamkeiten der Empfehlungen

W. Greiner und Ch. Hoffmann arbeiteten folgende Gemeinsamkeiten aus Empfehlungen von Deutschland, Frankreich, Italien sowie aus Kanada und Australien heraus:

- **Diskontierung**
Eine Diskontierung der Kosten und Nutzen muss Bestandteil einer gesundheitsökonomischen Analyse sein. Frankreich empfiehlt eine Darstellung mit und ohne Diskontierung der Nutzen.
- **Schlüsselvariablen eine Sensitivitätsanalyse**
Zu den Schlüsselvariable einer durchzuführenden Sensitivitätsanalyse werden teils konkrete Schwankungsbreiten angeben (Italien und Spanien), teils sind nur die Gründe für die Auswahl der Schwankungsbereiche offen zu legen.
- **Transparenz**
Eine wichtige Rolle spielt in allen Leitlinien die Transparenz. So sind insbesondere zu begründen: Auswahl der Methodik, Wahl der Handlungsalternativen und der Outcome-Parameter.
- **Outcome-Messung**
Hier sind klinische Endpunkte den intermediären Ergebnissen vorzuziehen.
- **Studiendesign**
Randomisierte klinische Studien werden - bei aller Problematik – auch für gesundheitsökonomische Evaluationen als optimal angesehen. Zusätzlich empfohlen werden: andere Quellen wie Meta-Analysen oder modellhafte Überlegungen.
- **Zeithorizont**
Absoluter Konsens besteht darin den gewählten Zeithorizont festzulegen. Frankreich fordert, dass dieser näher zu erläutern ist. Großbritannien und Italien stellen keine explizierten Anforderungen. Die deutschen und spanischen Empfehlungen weisen darauf hin, dass der Zeithorizont so gewählt sein muss, dass Effekte beobachtet werden können.
- **Vergleichsparameter**
Es besteht Übereinstimmung dahingehend, dass die am meisten angewendete Therapie eine mögliche Option sein sollte. Frankreich ist hier sehr restriktiv. England fordert nur die Begründung für die Auswahl der betrachteten Alternativen. Deutschland und Spanien lassen als Vergleichsparameter auch den Vergleich mit "Nichts Tun" und/oder der effizientesten Alternative zu. Kanada verlangt den Vergleich mit dem führenden Präparat und der kostengünstigsten Alternative!
- **Ressourcen-Angaben**
Ressourcenverbräuche sind anzugeben getrennt als Mengeneinheiten und als Kosten.
- **Perspektive**
Mit Ausnahme Italiens empfehlen alle Empfehlungen die gesellschaftliche Perspektive als optimal. Italien favorisiert für sich die Perspektive des Kostenträgers, des Italienischen National Health Service.

Unterschiede der Empfehlungen

Während die Empfehlungen im methodischen Bereich weitgehend übereinstimmen, ist dies weniger im Bereich der Nutzenmessung und den Vorgehensweisen bei Erhebungen der individuellen Kosten und Lebensqualität der Fall.

- **Geltungsbereich**

Die Empfehlungen Frankreichs, Italiens und Englands beziehen sich ausdrücklich nur auf pharmakoökonomische Studien.

- **Diskontrate**

5 %ige Rate empfehlen Deutschland, Italien, Frankreich und Kanada
6 % ige Rate empfehlen Großbritannien und Spanien

- **Kosten-Nutzen-Analyse**

Bei der Kosten-Nutzen-Analyse werden alle anfallenden Kosten und der resultierende Nutzen in Geldeinheiten ausgedrückt, d.h. auch intangible Effekte (z.B. Lebensqualität) müssen monetär bewertet werden. Das Ergebnis sind umfassende Gesamtkosten von Behandlungen.

Deutschland und Italien lehnen die Kosten-Nutzen-Analyse ab.

Frankreich hat keine eindeutige Präferenz für einen bestimmten Studientyp, Spanien nimmt hierzu nicht Stellung. Kanada bevorzugt die Kosten-Nutzwert-Analyse. Unklar ist die Bedeutung einer Kosten-Minimierungs-Analyse aus deutscher und spanischer Sicht.

- **Nutzenmessung**

Nur in den italienischen, französischen und kanadischen Empfehlungen werden die Verfahren der individuellen Nutzenmessung erwähnt (Time Trade Off, Standard Gamble, Willingness to Pay).

- **Lebensqualität**

Intangible Kosten entstehen durch Lebensqualitätsminderung durch z.B. Streß, Schmerz, Angst

Nutzeneffekte, d. h. Intangibler Nutzen entsteht durch Lebensqualitätssteigerung durch z.B. Vermeidung von Streß, Schmerz, Angst

Die Lebensqualitätsmessung hat in den einzelnen Empfehlungen unterschiedliches Gewicht. Für Deutschland kann sie grundsätzlich ein mögliches Outcome-Maß sein. Italien bezieht hierzu keine Stellung. Spanien und Frankreich verlangen validierte Meßinstrumente, wobei Frankreich auch auf krankheitsspezifische Lebensqualitätsmeßinstrumente Wert legt. England empfiehlt ein generisches Instrumentarium. Kanada verlangt generische und krankheitsspezifische Lebensqualitätsfragebögen sowie indirekte Messverfahren mit starke Präferenz für die QALYs -Berechnung.

- **Direkte Kosten**

Direkte Krankheitskosten sind die durch Behandlung einer Erkrankung unmittelbar entstehende Kosten (z.B. Sach- und Personalkosten)

Direkter Nutzen sind die durch Behandlungsmaßnahmen vermiedene Kosten
Deutschland nennt die Fremdbezugspreise. Spanien wünscht eine Bewertung zu Produktionskosten; nur wenn das nicht möglich ist zu Marktpreisen. Frankreich und Großbritannien machen keine konkreten Angaben.

- **Indirekte Kosten.**

Indirekte Krankheitskosten sind mittelbar veranlasste Kosten durch Produktivitätsverlust.

Indirekter Nutzen sind der Erhalt oder Wiederherstellung des Produktivpotentials durch Behandlungsmaßnahmen

In Deutschland, Frankreich und England sollen direkte als auch indirekte Ko-

sten in die Analyse einfließen. Frankreich empfiehlt eine Schätzung von Produktivitätsverlusten nur in Mengeneinheiten aber ohne monetäre Bewertung. Italien lehnt indirekte Kosten eindeutig ab Spanien hat sich nicht festgelegt.

Die Relevanz der Empfehlung des "Panel on Cost-Effectiveness in Health and Medicine", Washington. untersuchte Wasem, Greifswald bezüglich der gesundheitsökonomischen Evaluation in Deutschland.

Transparenz und Qualität einzelner Studien

Abschließend soll auf die Bewertung von Transparenz und Qualität einzelner Studien eingegangen werden.

Von der Forschergruppe in Hannover um Wasem, Greiner und v. d. Schulenburg wurden Kriterienkataloge zur Beschreibung und Bewertung ökonomischer Evaluationsstudien in Deutschland entwickelt.

- **Transparenzkatalog**
- **Qualitätskataloge**

Das Ausmaß an Transparenz einer Studie hat einen entscheidenden Einfluss auf die Akzeptanz der von den Autoren gewählten Verfahrensansätze. In Abhängigkeit von der Nachvollziehbarkeit der wichtigsten Studienergebnisse steigt oder fällt auch die Glaubwürdigkeit einer Studie.

Die zusätzlichen **Problemfelder** die eine Übertragbarkeit von Studienergebnissen zusätzlich beeinträchtigen können sind u.a.:

- Epidemiologie der Krankheit und Demographie,
- Klinische Praxis und Konventionen,
- Anreizsysteme und Regulationsmechanismen für Leistungserbringer im Gesundheitssystem,
- relative Preise,
- Verbraucherpräferenzen und
- Opportunitätskosten von Ressourcen

Transparenzkatalog

Die Anforderungen an die Transparenz von gesundheitsökonomischen Untersuchungen lassen sich in einem Transparenzkatalog organisieren, der 10 Themenbereiche mit insgesamt 56 Fragen umfasst.

Transparenzkatalog

| | |
|---|---|
| Fragestellung | Formulierung, medizinischer und ökonomischer Problemkontext |
| Evaluationsrahmen | Technologien, Vergleichstechnologien, Zielpopulation, Zeithorizont, Studientyp, Kosten und Gesundheitseffekte Perspektive |
| Analysemethoden und Modellierung | statistischen Tests / Modelle zur Analyse Modellstruktur und Parameter Annahmen, Datenquellen für Pfadwahrscheinlichkei- |

| | |
|--------------------------------------|--|
| | ten |
| Gesundheitseffekte | <p>Gesundheitszustände, Quellen für Gesundheitseffekt- daten epidemiologisches Studiendesign und Auswertungsmethoden Methoden zur Identifikation, Extraktion und Synthese der Effektparameter Gesundheitszustände mit Präferenzen Methoden und Messinstrumente Quellen der Bewertungsdaten für die Gesundheitszustände Evidenz der Gesundheitseffekte</p> |
| Kosten | <p>zugrunde liegenden Mengengerüste mit Quellen und Methoden zur Ermittlung zugrunde liegenden Preisgerüste mit Quellen und Methoden zur Ermittlung der Preise Begründung der Kosten anhand der ge- wählten Perspektive und des gewählten Zeithorizontes Produktivitätsausfallskosten, Währung, Währungskonversionen, Preisanpassun- gen</p> |
| Diskontierung | <p>Gesundheitseffekte <u>und</u> Kosten Referenzjahr für die Diskontierung, Dis- kontraten Begründung der Diskontraten bzw. der Verzicht auf eine Diskontierung</p> |
| Ergebnispräsentation | <p>Modellvalidierung, absolute und inkrementelle Gesund- heitseffekte und Kosten jeweils pro Kopf, Maßzahl für die Relation zwischen Ko- sten und Gesundheitseffekt klinische Effekte (nicht lebensqualitäts- adjustierte) Darstellung in disaggregierter Form so- wie populationsaggregierte Kosten und Gesundheitseffekte</p> |
| Behandlung von Unsicherheiten | <p>Univariate, multivariate, strukturelle Sen- sitivitätsanalysen, berücksichtigte Werte oder Wertebereiche bzw. Strukturvarian- ten Ergebnisse der Sensitivitätsanalysen statistische Inferenzmethoden (statisti- sche Tests, Konfidenzintervalle</p> |
| Diskussion | <p>Datenqualität, Richtung und Größe des Einflusses un- sicherer oder verzerrter Parameterschät- zung sowie struktureller Modellannah- men Einschränkungen und Schwächen der</p> |

| | |
|---------------------------|---|
| | Studie Angaben zur Generalisierbarkeit ethische und Verteilungsfragen Kontext mit unabhängigen Gesundheitsprogrammen |
| Schlussfolgerungen | Ableitung aus den berichteten Daten / Ergebnissen Antwort auf die Fragestellung |

Zielsetzung des "**Qualitätskataloges**" ist es, die **methodisch-inhaltliche Qualität** der gesundheitsökonomischen Studien in dem von ihnen vorgegebenen Kontext bzw. Rahmen aus Fragestellung, Evaluationsansatz und Studiendesign in standardisierter Weise zu bewerten.

Die Themenbereiche und Einzelkriterien des Qualitätskataloges zeigen starke Übereinstimmung mit dem Transparenzkatalog – im Gegensatz zu diesem verlangt der Qualitätskatalog jedoch vom Anwender ein Urteil über die Angemessenheit bzw. korrekte Umsetzung der Methodik und die Adäquanz der Ergebnisdarstellung.

Weiterführende Literatur

ABPI-Government Strategic Working Group Proposal for Guidance on the Conduct of Economic Evaluations of Medicines.

Guidelines for economic evaluation of pharmaceuticals – The United Kingdom. In: Kori-Lindner C. (Hrsg.) Pharmakoökonomie in Deutschland. Aulendorf; (1995):296-299

Canadian Coordinating Office for Health Technology Assessment.

Guidelines for economic evaluation of pharmaceuticals: Canada. 2nd ed. Ottawa: CCOHTA; 1997

Commonwealth Department of Health, Housing and Community Services.

Guidelines for the Pharmaceutical Industry on Preparation of Submissions to the Pharmaceutical Benefits Advisory Committee (PBAC). Canberra: Australian Government Publication Service, 1992.

Deutsche Empfehlungen zur gesundheitsökonomischen Evaluation – Revidierte Fassung des Hannoveraner Konsens, in: Gesundheitsökonomie und Qualitätsmanagement, Vol. 4 (1999), S. A62 – A65 (zusammen mit den anderen Mitgliedern der Hannoveraner Konsensus Gruppe) (auch veröffentlicht in: DMW Deutsche Medizinische Wochenschrift, 124. Jg. (1999), S. 1503 – 1506 sowie Medizinische Klinik, 95. Jg. (2000), Nr. 1, S. 52 – 55)

Department of Health/Association of the British Pharmaceutical Industry.

Guidelines for economic evaluation of pharmaceuticals. London, DH; 1994

Drummond MF, O'Brien B, Stoddart GL, Torrance GW. Methods for the economic evaluation of health care programmes. Oxford: Oxford University Press; 1997

Gold MR, Siegel JE, Russel LB, Weinstein MC. Cost-effectiveness in health and medicine. Oxford: Oxford University Press; 1996

Kori-Lindner C. (Hrsg.) Pharmakoökonomie in Deutschland, Gesetzliche Rahmenbedingungen, Vorgaben und Umsetzung in die Praxis

ECV, PharmInd Serie-Dokumentation (1995)

Leidl R. Der Effizienz auf der Spur: Eine Einführung in die ökonomische Evaluation. In: Schwartz FW, Badura B, Leidl R, Raspe H, Siegrist J (Hrsg.) Das Public Health Buch. München: Urban und Schwarzenberg; 1998:346-369

Leidl R. Standardisierung und Flexibilisierung ökonomischer Evaluationsstudien. In: Trampisch HJ, Lange S. Medizinische Forschung, Ärztliches Handeln. München, MMV Medizin Verlag 1995:285-289
Mossialos E. Pharmaceutical pricing, financing and cost containment in the European Union member states. In: Leidl R (ed.) Health Care and its Financing in the Single European Market. Amsterdam: IOS Press; 1998:85-115

Organisation for Economic Co-operation and Development. OECD Health Data, Paris: OECD
Schöffski O.: Wirtschaftlichkeitsuntersuchungen von Arzneimitteln - Prinzipien, Methoden und Grenzen der Gesundheitsökonomie. Hannover: Duphar Pharma GmbH, 1990.

Schöffski, O., Glaser, P., Schulenburg, J.-M. Graf v.d. (Hrsg.)
Gesundheitsökonomische Evaluationen - Grundlagen und Standortbestimmung
Berlin, Heidelberg, New York: Springer. (1998)

Schöffski, O., Schulenburg, J.-M. Graf v. d. (Hrsg.) Gesundheitsökonomische
Evaluationen. Zweite, vollständig überarbeitete Auflage. Berlin, Heidelberg, New York: Springer.
(2000)

Siebert U et al. Entwicklung eines Kriterienkatalogs zur Beschreibung und Bewertung ökonomischer Evaluationsstudien in Deutschland. S. 156-170 in Wasem J Standardisierung, Nutzbarkeit und Übertragbarkeit von Evaluationsstudien Zur Relevanz der Leitlinien des Washington Panels für die gesundheitsökonomische Evaluation in Deutschland (im Druck)

Wasem J Entwicklung und Anwendung eines Instrumentariums zur systematischen Beschreibung und Bewertung gesundheitsökonomischer Studien., Nomos, Baden-Baden, 2001

Wasem J, F. Hessel & C. Kerim-Sade: Methoden zur vergleichenden ökonomischen Evaluation von Therapien und zur rationalen Ressourcenallokation über die Bereiche des Gesundheitswesens hinweg. In: Psychiatrische Praxis., Stuttgart, 2001, Sonderheft 1, S. 12-20

Wasem J und F. Hessel: Gesundheitsbezogene Lebensqualität und Gesundheitsökonomie
In: U. Ravens-Sieberer & Alarcos Cieza (Hrsg.): Lebensqualität und Gesundheitsökonomie in der Medizin. Landsberg (ecomed) 2000, S. 319 – 335

Wasem J Standardisierung, Nutzbarkeit und Übertragbarkeit von Evaluationsstudien
Zur Relevanz der Leitlinien des Washington Panels für die gesundheitsökonomische Evaluation in Deutschland (im Druck)

Autor:

Dr. med. Claus Kori-Lindner, KoLi - Med.-Wiss.-Service
Thalkirchner Str.88, D 80337 München

Tel.: 089 - 53 80 194, Fax: 089-51 450 839, E-mail: kori-lindner@t-online.de

Homepage: www.kori-lindner.de