

Positionspapier der Ad-hoc-Kommission zu

Frühe Nutzenbewertung neuer Arzneimittel 2017

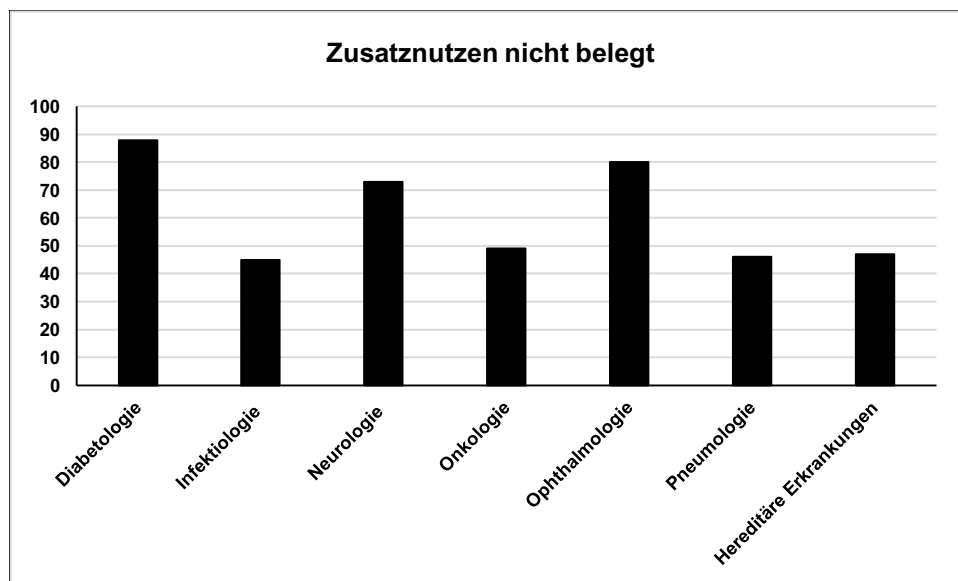
Die frühe Nutzenbewertung neuer Arzneimittel als Basis einer fairen Preisbildung hat sich seit ihrer Einführung im Jahr 2011 schnell als effektives, auch international beachtetes Verfahren etabliert. Es schafft zusätzliche Transparenz durch die umfangreiche Präsentation von Studiendaten seitens der pharmazeutischen Unternehmer, ermöglicht kritische Diskussionen durch Berichte und Stellungnahmen, und bildet die Grundlage für eine faire Preisbildung.

Die aktuelle Analyse von 224 Verfahren aus den Jahren 2011 – 2016 durch die „Ad-Hoc-Kommission Frühe Nutzenbewertung“ der AWMF bestätigt die positiven Aspekte, zeigt aber auch beunruhigende Entwicklungen. Die wissenschaftlichen medizinischen Fachgesellschaften fordern:

- **Die Methodik der frühen Nutzenbewertung muss erweitert werden, um unzureichende Bewertungen des patientenrelevanten Outcome zu beseitigen.**
- **Das Verfahren der Preisbildung muss rechtssicher und transparent sein.**
- **Die Kriterien zur Festlegung der Aussagesicherheit müssen transparent und auf alle Festlegungen angewendet werden.**

Ungleichgewicht der Festlegungen in den verschiedenen Fachgebieten

Die aktuelle Auswertung der wissenschaftlichen medizinischen Fachgesellschaften zeigt eine große, in den letzten Jahren konstante Imbalance der Festlegungen in den verschiedenen Fachgebieten.



Die Festlegungen sind nicht durch Unterschiede im Design oder in der Qualität der Zulassungsstudien bedingt, sondern vor allem durch die unterschiedliche Bewertung von Endpunkten in den Verfahren der Zulassung und der Nutzenbewertung. Insbesondere die Parameter der Morbidität sind sehr heterogen und bedürfen einer Detaildiskussion. Die European Medicines Agency (EMA) hat diese Diskussion bereits in vielen Punkten geführt. Sie sollten daher neu bewertet und gewichtet werden wie z.B. durch eine höhere Gewichtung von Funktionstests, Verbesserungen bei Alltagsfunktionen oder Schmerzen. Dies betrifft auch die schon früher diskutierte Bewertung von Subgruppen.

- **Die Methodik der frühen Nutzenbewertung muss erweitert werden, um unzureichende Bewertungen des patientenrelevanten Outcomes zu beseitigen.**

Unsicherheit bei Preisbildung und Wirtschaftlichkeit

Viele Verfahren der letzten Jahre wurden mit einem „bunten Ergebnis“ abgeschlossen, d. h. mit unterschiedlichen Festlegungen in den verschiedenen Subgruppen. Auch bei der Bewertung von Arzneimitteln in verschiedenen, nachfolgend zugelassenen Indikationen ergab sich oft ein „buntes Ergebnis“. Pragmatisch wurde bisher in den Preisverhandlungen zwischen pharmazeutischem Unternehmer und Krankenkassen bzw. im Schiedsverfahren ein Mischpreis für das neue Arzneimittel verhandelt, über alle Subgruppen und über alle Indikationen. Dieses Vorgehen wird aktuell in einem einstweiligen Rechtsschutzverfahren durch das Landessozialgericht Berlin-Brandenburg in Frage gestellt. Bereits vorher hatten Krankenkassen wiederholt die Auffassung vertreten, dass die Verordnung eines Arzneimittels in einer Subgruppe mit „Zusatznutzen nicht belegt“ unwirtschaftlich ist, wenn der Preis oberhalb der zweckmäßigen Vergleichstherapie liegt. Die fehlende Rechtssicherheit führt zur Angst vor Regressen und beeinträchtigt den Einsatz neuer, wirksamer Arzneimittel.

- **Das Verfahren der Preisbildung muss rechtssicher und transparent sein.**

Unklarheit bezüglich der Aussagesicherheit der Festlegungen

In den Entscheidungen des G-BA wird neben der Bewertung des Zusatznutzens auch die Aussagesicherheit festgelegt. Ergebnisse in 469 Subgruppen aus den Jahren 2011 – 2016 sind:

Aussagesicherheit

Kategorie	n	%
Beleg	5	1,1
Hinweis	53	11,3
Anhaltspunkt	68	14,5
keine Aussage	343	73,1
alle	469	100

Nur in 1% der bisher abgeschlossenen Verfahren waren die Daten ausreichend, um die Festlegung als *belegt* anzusehen. Bei fast drei Viertel aller Festlegungen wurde keine Aussage zur Sicherheit der Bewertung getroffen. Dieser hohe Anteil beruht im Wesentlichen darauf, dass bei der Festlegung *Zusatznutzen nicht belegt* seitens des G-BA grundsätzlich keine Festlegung zur Aussagesicherheit getroffen wird. Das ist kritisch, weil diese Festlegung auf einer sehr unterschiedlichen Studienlage basieren kann, vom Fehlen ausreichender Daten bis zum negativen Ergebnis in einer Metaanalyse. Die hohe Datenunsicherheit der frühen Nutzenbewertung zeigt sich auch darin, dass in der Hälfte der Subgruppen bei Neubewertungen eine andere Festlegung als im ersten Verfahren getroffen wurde.

- **Die Kriterien zur Festlegung der Aussagesicherheit müssen transparent und auf alle Festlegungen angewendet werden.**

Die wissenschaftlichen medizinischen Fachgesellschaften unterstützen das Verfahren der frühen Nutzenbewertung als ein Instrument zur zusätzlichen Transparenz in der Bewertung neuer Arzneimittel. Die oben bezeichneten Entwicklungen stellen aktuell den langfristigen Wert des Verfahrens in Frage.

Korrespondenz:

Vorsitzender der Ad-Hoc-Kommission Nutzenbewertung

Prof. Dr. B. Wörmann

E-Mail: woermann@dgho.de

Das Präsidium der AWMF hat am 04.05.2017 dem Positionspapier der Ad-hoc-Kommission zugestimmt.