

Nutzen-Schaden-Abwägung bei HTA-Verfahren

20. AWMF Leitlinienkonferenz, Berlin

9.12.2009

Dr. Dagmar Lühmann,
Institut für Sozialmedizin

Universität zu Lübeck

dagmar.luehmann@uk-sh.de



Was ist HTA?

Health technology assessment (HTA) is a **multidisciplinary process** that summarises information about the medical, social, economic and ethical issues related to the use of a health technology **in a systematic, transparent, unbiased, robust manner**. Its aim is to inform the formulation of **safe, effective, health policies that are patient focused** and seek to achieve **best value**. Despite its policy goals, HTA must always be firmly rooted in research and the scientific method.

EUnetHTA, 2007



Dimensionen von HTA

Gesundheitsproblem und Technologiegebrauch

Technische Beschreibung, technische Charakteristika

Sicherheit

Erwünschte Effekte (clinical effectiveness)

Kosten, ökonomische Evaluation

Ethische Aspekte

Organisatorische Aspekte

Soziale Aspekte

Rechtliche Aspekte

EUnetHTA 2007, Core Model for medical and surgical interventions™



ECHTA Working Group 4

Table 1. Content of an HTA (Modified from EUR-ASSESS 1997)

→ Policy question

Background information on target group, target condition, technology (technical aspects, diffusion, and current practice)

Research questions

Findings and Methodology

- Safety
- Efficacy/effectiveness
- Psychological, social, and ethical considerations
- Organizational and professional implications
- Economic issues

Policy conclusions and recommendations

Anlass, Akteure und Adressaten von HTA

Policy Question: Anstehende, systemrelevante Entscheidung - meistens Kostenübernahmeentscheidung – häufig Zeitdruck

Akteure: (unabhängige) HTA-Institutionen, wissenschaftliche Forschungsabteilungen, gesundheitspolitische Entscheidungsinstanzen, Kostenträger, Leistungserbringer, Hersteller
....

Adressaten: Entscheidungsträger in den relevanten Institutionen

HTA ≠ Entscheidung!



Methoden

"HTA is a multidisciplinary process that summarises information about the medical, social, economic and ethical issues related to the use of a health technology in a systematic, transparent, unbiased, robust manner. "

Gehört zum Instrumentarium der evidenzbasierten Gesundheitsversorgung – aber ist per Definition nicht festgelegt auf "Meta-Methoden".



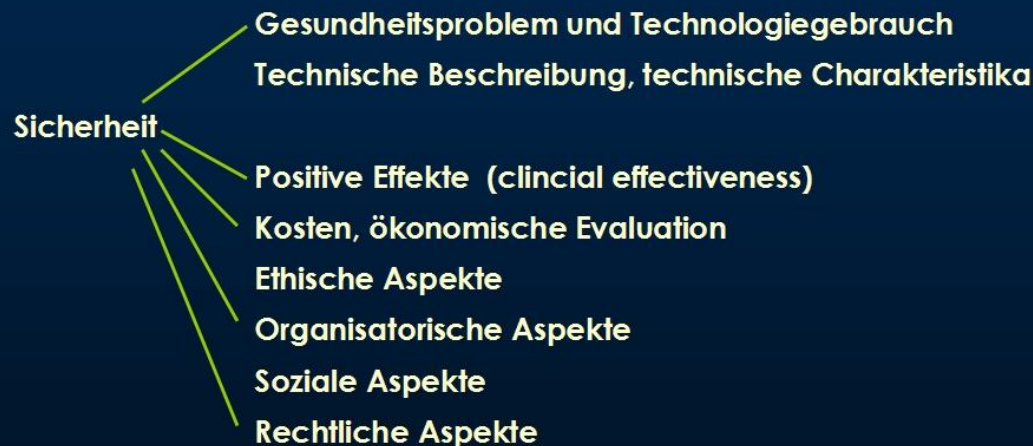
Bewertung der Sicherheit im HTA

Die Analyse der Sicherheit einer Technologie intrinsischer Anteil der Nutzenbewertung – daher obligatorischer Bestandteil eines HTA-Berichts ...

Ziel der Bewertung: rechtfertigt der Nutzen das mit der Anwendung verbundene Risiko

(Perleth, 2008)

Dimensionen von HTA



(EUNetHTA, 2007)

Scoping

– steckt den Bewertungsrahmen ab, bereitet die Operationalisierung der "Policy Question" in präzise Forschungsfragen vor

- Art der Technologie
- Krankheit bzw. Versorgungsproblem
- Umfassender Überblick vs. spezifische Sicherheitsprobleme
- Perspektiven?

(Patientenrelevanz ? Entscheidungsrelevanz ?)

Inhalte der Sicherheitsbewertung (nach EUNetHTA Core-Model)

Art der unerwünschten Effekte

Dauer/ Schweregrad

Inzidenz

Zeitabfolge

vulnerable Gruppen

Auswirkungen auf Morbidität, Mortalität, Beeinträchtigung,
Lebensqualität der Betroffenen?

Auswirkungen auf die Nutzen-, Kosten-Nutzenbewertung (Utilities,
QALYs, DALYs)

Auswirkungen/Anforderungen auf Versorgungssystem

Vergleich mit alternativen Technologien

Umweltverträglichkeit, Arbeitssicherheit

Möglichkeiten der Schadenminimierung



Datenquellen

Literatur (peer reviewed, graue Literatur)

Herstellerdaten, Zulassungsunterlagen

Monitoring Systeme (obligatorisch)

Register (Prozeduren, Patienten)

Surveillance Berichte

Routinedaten

....

Datenselektion, Qualitätsbewertung

In Abhängigkeit von den „Forschungsfragen“!

int. Validität vs. Relevanz

keine übergreifende Methodik

Synthese qualitativ

beschreibend obligatorisch

quantitativ

fakultativ, Verweis auf Standardmethodik

Strengths and weaknesses of studies included in systematic reviews of harmful effects

| Method/study design | Strengths | Weaknesses |
|--|---|--|
| Case report | Early warning | Bias, differing case definitions, lack of comparators |
| Passive and active surveillance | Early warning or detection of rare events | Bias, differing case definitions, lack of comparators |
| Ecological study | Powerful, cheap | Difficulty in interpretation, confounding, bias, differing case definitions |
| Case crossover and case based studies | No need for independent controls | Lack of wide acceptance, bias, differing case definitions |
| Multiple time series | Flexible, powerful | Credibility, bias, differing case definitions |
| Case-control study | Can test hypotheses, especially rare events | Confounding, bias, differing case definitions |
| Cohort study | Powerful, cheap (if retrospective) | Confounding, bias (especially attrition), differing case definitions |
| Historical control study | Powerful, cheap | Bias, differing case definitions, difficulty in interpretation, differing case definitions |
| Randomised and clinically controlled studies | Powerful, minimisation of all biases | Short follow up, limited power, differing case definitions |

Jefferson & Demicheli, 2003

Nutzen/ Schaden Abwägung

Narrativ

Beschreibung der Befunde, Angabe der „Sicherheit“ der Schätzung, wenn möglich, Angabe von Inzidenzen, Mortalität.

Gegenüberstellung der Befunde zu den „erwünschten Effekten“; selten Quantifizierung (z. B. NNT, NNH)

QALY

Unerwünschte Effekte gehen in gemessene Lebensqualität ein

[**Modellierungen:** Nutzen/ Risiken-Gegenüberstellungen, Sensitivitätsanalysen]

CRD HTA-Datenbank: Endoprothetischer Bandscheibenersatz (seit > 20 Jahren im klinischen Einsatz (D))

1

n = 7 Treffer (1 Update, 1 Publikation spanisch, 1 nicht erhältlich)

| Assessment | Titel | Allgemeine Fragestellung | Zielgrößen (Sicherheit) | Datenquellen (Sicherheit) | Schlussfolgerungen |
|---|---|--|---|---|--|
| TEC Assessment Program, Volume 24, No. 3, August 2009 | Arthroplasty for Treatment of Degenerative Disc Disease of the Cervical Spine | Vergleich ACDF vs. AIDA hinsichtlich klinisch relevanter Outcomes | Verschlechterung der Symptomatik; perioperative Komplikationen; Produkt- und Prozedurabhängige Komplikationen | 2 RCT; Nachbeobachtung 2 Jahre | keine Aussage hinsichtlich Langzeitsicherheit möglich |
| Artificial Discs for Lumbar and Cervical Degenerative Disc Disease – Update. Ontario Health Technology Assessment Series 2006; Vol. 6, No. 10 | Artificial Discs for Lumbar and Cervical Degenerative Disc Disease – Update | Bewertung von Wirksamkeit und Sicherheit von Bandscheibenersatzverfahren | Implantatversagen, neurologische Komplikationen; Degeneration benachbarter Segmente; | Lumbal: 2 RCT; Nachbeobachtung 2 Jahre, 6 Fallserien (bis 5 Jahre) zervikal: 4 Fallserien | lumbal: GRADE Profil „moderate“ für Implantatversagen, neurol. Komplikationen; „very low“ für ASD; zervikal: „GRADE „very low“ qualitative Ergebnisdarstellung % Angaben von Komplikationsraten keine Schlussfolgerung |

CRD HTA-Datenbank: Endoprothetischer Bandscheibenersatz (seit > 20 Jahren im klinischen Einsatz (D))

1

n = 7 Treffer (1 Update, 1 Publikation spanisch, 1 nicht erhältlich)

| Assessment | Titel | Allgemeine Fragestellung | Zielgrößen (Sicherheit) | Datenquellen (Sicherheit) | Schlussfolgerungen |
|----------------------|---|---|---|---|--|
| MSAC, Australia 2003 | Artificial intervertebral disc: For the replacement of degenerative lumbar or cervical discs in patients suffering disabling, chronic pain. | Horizon Scanning – potentiell relevante (?) Technologie | - | - | - |
| WorkSafe BC. 2005 | Artificial cervical and lumbar disc implants: A review of the literature. | | RCT: perioperative Komplikationen, postoperative Komplikationen; Fallserien: 6 von 11 Fallserien berichten Komplikationen, 2 davon Spätkomplikationen (bis 5 Jahre postoperativ) | 2 RCT – 24 Mon 11 Fallserien bis 5 Jahre 2 Case Reports | Auflistung von Art und Häufigkeit von Ereignissen: Gleiche Evidenzbasis für Efficacy- und Risikobewertung nicht ausreichend (Level4,5). Art der Risiken angeführt, aufgrund der Datenlage: Technologie experimentell |

Konsequenzen

Wer zieht Konsequenzen?

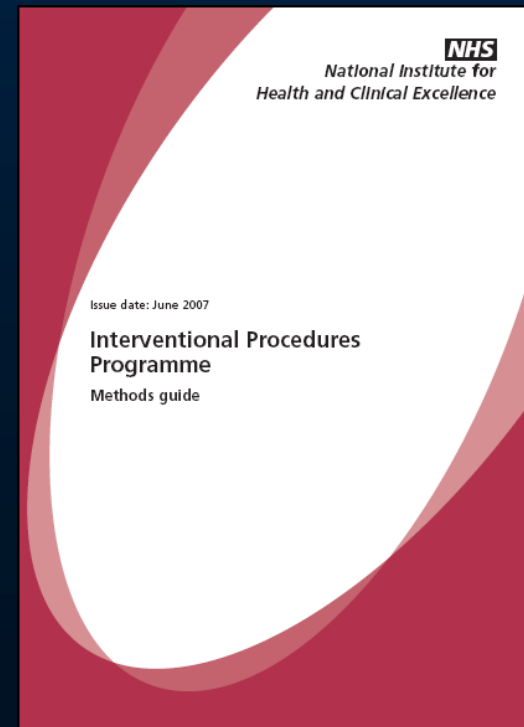
Rolle von HTA:

Evidenzaufbereitung – Empfehlungen – Umsetzung?

Beispiel: NICE, Interventional Procedures Programme

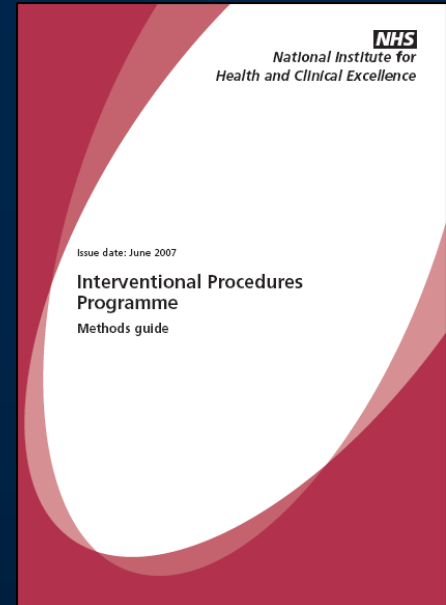
Nutzen/ Risikobewertung
von (neuen) invasiven
Technologien (i. d. R.
Operationsverfahren,
Medizinprodukte)

betont wird: Risikoaversivität (S. 26)!



Konsequenzen aus Nutzen/ Sicherheitsbetrachtung

- Normal arrangements
- Special arrangements (Aufklärung, Audit, Training, Monitoring etc.)
- Research only
- Should not be used



5.6.1 Magnitude and frequency of reported adverse events

When making judgements about safety, both the magnitude (seriousness) and frequency of adverse events need to be considered. A low risk of very damaging complications is generally considered to be a more significant safety issue than a high risk of minor complications. The most important consideration is that patients (or their parents or carers, when appropriate) should be informed and should understand the risks when offered the procedure. This always means telling them the known risks, but in addition it may mean telling them that there is uncertainty about the frequency (risk) of complications – in particular uncommon and serious ones.

Fazit

Nutzen-Schaden-Abwägung bei HTA-Verfahren:

Konsentiert:

Inhalte von Nutzen-Schadenbetrachtungen im HTA

Überlappungen mit anderen Bewertungsbereichen

Prozedurales Vorgehen

Methodischer Ansatz (Recherchen, Studientypen...)

[Konsequenzen]

**offen – und mit den gleichen Problemen behaftet wie alle
Instrumente der „evidenzbasierten“ Gesundheitsversorgung**

Synthese von „Schaden“daten

Bewertung im Zusammenspiel mit Nutzendaten

Ich bedanke mich für Ihr Interesse!