

Kosten-Nutzen-Bewertung von medizinischen Interventionen als Allokationsinstrument – ethische Aspekte einer Priorisierung

Georg Marckmann

Ludwig-Maximilians-Universität München
Institut für Ethik, Geschichte und Theorie der
Medizin

4. Frankfurter Forum

Fulda, 15.04.2011

KNB: Ethische Fragen

- (1) Ist es ethisch vertretbar oder geboten eine Kosten-Nutzen-Bewertung (KNB) im deutschen Gesundheitswesen durchzuführen?
- (2) Wenn ja: Wie kann die KNB in einer **ethisch vertretbaren** Art und Weise durchgeführt werden?
 - ⇒ (2.1) Indikationsübergreifend?
 - ⇒ (2.2) KNB-Methodik des IQWiG (Effizienzgrenze) angemessen?
 - ⇒ (2.3) Mögliche Alternativen?
 - ⇒ (2.4) Ethische Anforderungen an das *Verfahren* der KNB

(1) KNB – ethisch vertretbar/geboten?

- Rahmenbedingungen in der GKV
 - Medizinische Innovationen & demographischen Wandel ⇒ Versorgungsbedarf↑ ⇒ Ausgaben↑
 - Begrenzt verfügbare Finanzmittel
 - Gründe: Opportunitätskosten in anderen Bereichen, abnehmender Grenznutzen med. Maßnahmen
- ⇒ Bewusster Umgang mit den knappen Mitteln *ethisch* geboten (Ethisches Gebot der Nutzenmaximierung)
 - Effizienzsteigerungen („Rationalisierung“)
 - Kostengünstigere Alternativen identifizieren
 - Leistungsbegrenzungen („Rationierungen“)
 - Finden bereits heute statt! (z.B. Strech et al. 2009)
 - Am ehesten ethisch vertretbar: Leistungen mit geringem Grenznutzen bei hohen Grenzkosten ausschließen!
- ⇒ Erfordert systematische Abschätzung von (Netto-)Nutzen und Kosten medizinischer Maßnahmen

Schlussfolgerungen – 1

- (1) Kosten-Nutzen-Bewertung (KNB) ist unter Knappheitsbedingungen ethisch geboten!
- ⇒ Anschlussfrage: Wie kann die KNB in einer **ethisch vertretbaren** Art und Weise durchgeführt werden?

(2.1) KNB – indikationsübergreifend?

- Vergleich des Kosten-Nutzen-Verhältnisses medizinischer Maßnahmen bei **einer** Indikation (Erkrankung)
 - Vorteil: kein indikationsübergreifender Nutzenvergleich erforderlich
 - indikationsspezifische Nutzenmaße möglich
- Allokationsentscheidungen haben – bei begrenzten Ressourcen – *notwendig* Implikationen für die Verfügbarkeit von Ressourcen in anderen Indikationsbereichen (⇒ **Opportunitätskosten**)
 - ⇒ Explizite Abschätzung & Abwägung dieser Opportunitätskosten ist *ethisch* geboten (⇒ trade-off zwischen verschiedenen Programmen)
 - ⇒ Ergebnis einer indikationsspezifischen KNB muss indikationsübergreifenden Kosten-Nutzen-Vergleich ermöglichen
- ⇒ *Kein* einheitlicher Schwellenwert erforderlich, aber ein indikationsunabhängiges Nutzenmaß (z.B. QALY)!

(2.1) KNB – indikationsübergreifend?

- Drug eluting stents (DES) bei Koronarer Herzerkrankung [Brunner-La Rocca 2007]
 - Die Verhinderung eines größeren kardialen Ereignisses – MACE (z.B. Herzinfarkt) kostet €64.732 ⇒ Bewertung??
 - €39.641/QALY ⇒ erlaubt explizite Abschätzung der Opportunitätskosten: Welchen gesundheitlichen Nutzen könnte man mit den Ressourcen in anderen Bereichen erzielen?
- Neue Therapie-Strategie bei chronischer Hepatitis C: PegInf + Ribavirin [Pilotstudie Siebert et al. 30.06.2009]
 - 25% Anstieg der Langzeit-Ansprechrates (SVR) kostet €3.600 ⇒ Bewertung??
 - 1 verhinderte (dekompensierte) Leberzirrhose kostet €41.700 ⇒ Bewertung??
 - €3.900/QALY ⇒ erlaubt Abschätzung der Opportunitätskosten
- ⇒ Kosten-Nutzen-Verhältnisse mit indikationsspezifischen Nutzenmaßen sind kaum zu bewerten

Schlussfolgerungen – 2

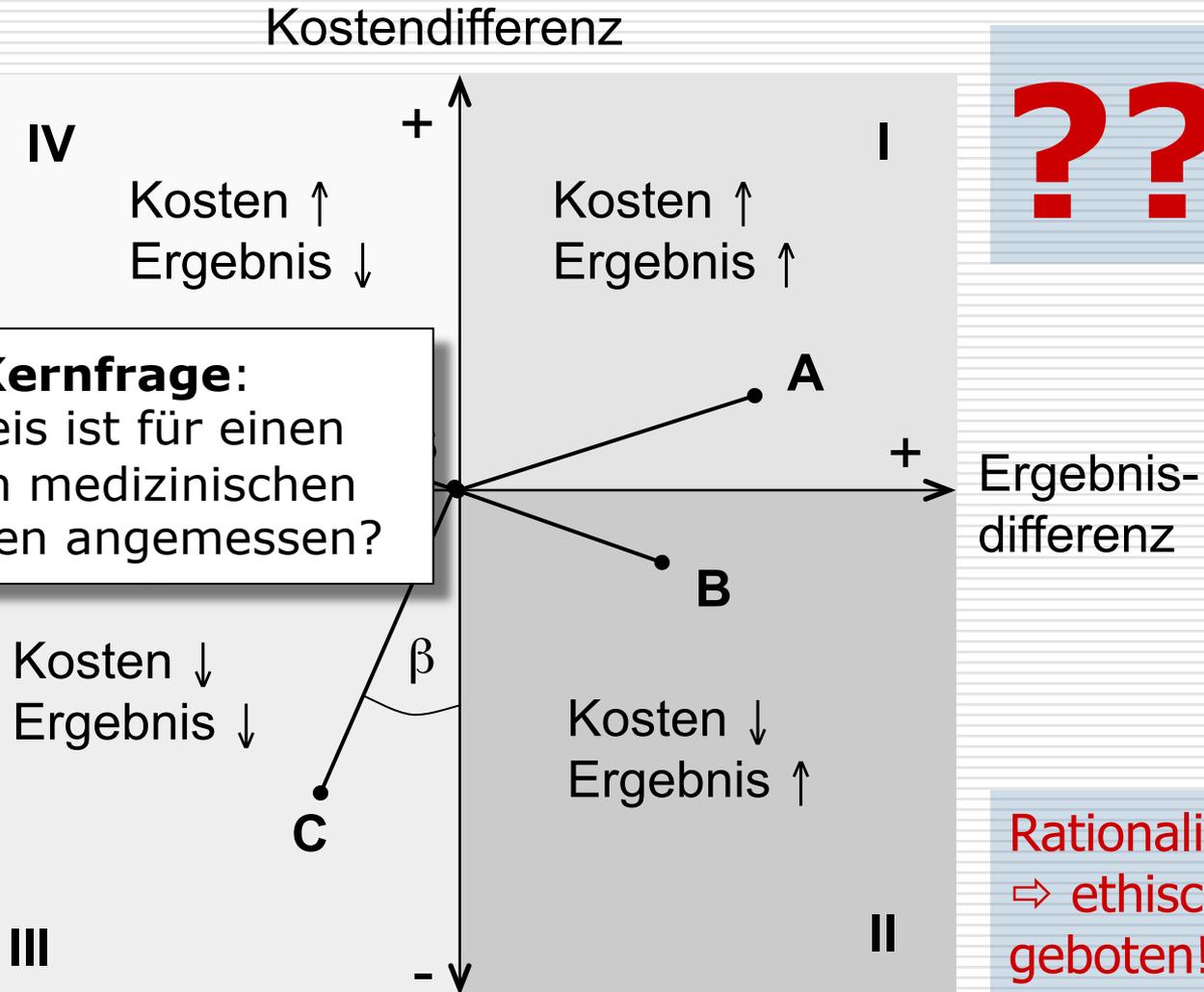
- (1) Kosten-Nutzen-Bewertung (KNB) ist unter Knappheitsbedingungen ethisch geboten!
 - (2) Höchstpreise lassen sich nur über *indikationsübergreifende* Kosten-Nutzen-Vergleiche ethisch gut begründen.
- ⇒ Anschlussfrage: Ist die Methodik des IQWiG („Effizienzgrenze“) hierfür angemessen?

Kosten-Effektivitäts-Ebene

Ineffizient
⇒ ethisch
nicht
vertretbar!

??

Ethische Kernfrage:
Welcher Preis ist für einen
bestimmten medizinischen
Zusatznutzen angemessen?

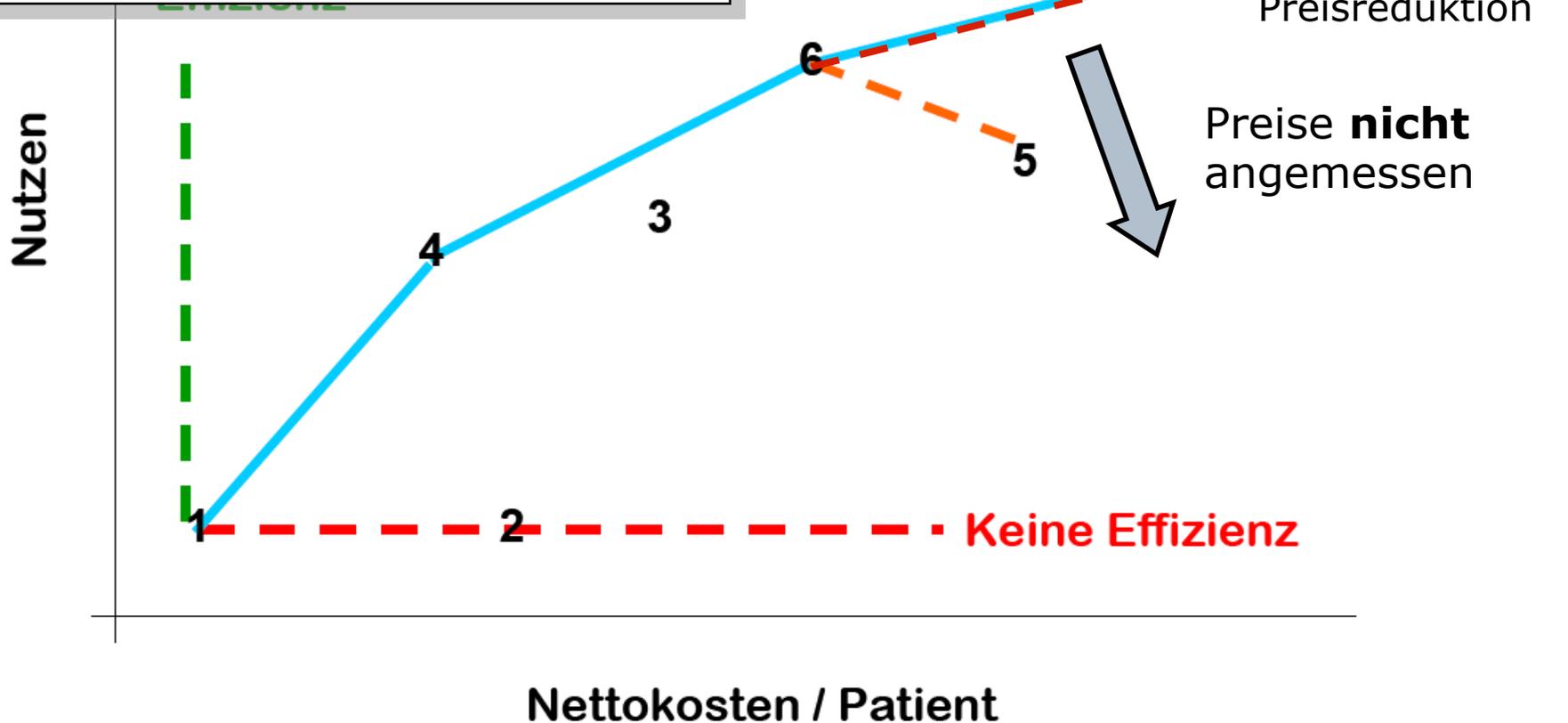


Bei kleinem
 β evtl.
vertretbar

Rationalisierung
⇒ ethisch
geboten!

„Daher werden [...] solche Preise als angemessen angesehen, die gemessen an der Effizienzgrenze nicht zu einer Verschlechterung der Effizienz in einem gegebenen Indikationsgebiet führen.“ (S. 43, KNB-Methoden V. 1.0)

Interpretation der Steigung



(2.2) KNB auf Basis der Effizienzgrenzen

- Bewertungsmaßstab für KNB: *vorherrschendes* Kosten-Nutzen-Verhältnis (Preisniveau!) im Indikationsbereich!
- Setzt explizite Entscheidung über Angemessenheit der Preisbildung voraus ⇒ Voraussetzung in GKV nicht erfüllt!
- Ethische Einwände
 - Unzulässiger Schluss von „Sein“ auf „Sollen“
 - ⇒ „Naturalistischer Fehlschluss“
 - ⇒ zusätzliche ethische Begründung ist erforderlich!
 - Inkonsistente Bewertungen über Indikationen hinweg ⇒ ungerechte Entscheidungen über Höchstbeträge!
 - Beispiele: DES €39.641/QALY; Hepatitis C : €3.900/QALY
 - ⇒ Begründung für unterschiedlichen „Grenzwert“?
 - Verfassungsrechtlich problematisch (vgl. S. Huster)
 - Fortschreibung schlechter Kosten-Nutzen-Verhältnisse
 - Paradoxe Anreiz für Innovationen ⇒ ungleicher Zugang zu medizinischem Fortschritt

Schlussfolgerungen – 3

- (1) Kosten-Nutzen-Bewertung (KNB) ist unter Knappheitsbedingungen ethisch geboten!
 - (2) Höchstpreise lassen sich nur über *indikationsübergreifende* Kosten-Nutzen-Vergleiche ethisch gut begründen.
 - (3) Die KNB-Methodik des IQWiG bietet *keine* hinreichende ethische Rechtfertigung für die Höchstpreis-Festsetzung.
- ⇒ Anschlussfrage: Wie könnte eine Alternative Methodik der Kosten-Nutzen-Bewertung aussehen?

Kosten-Effektivitäts-Ebene

Ethische Rechtfertigungen

- Großer individueller Nutzengewinn
- (Keine Alternative verfügbar)
- Schwerwiegende Erkrankung
- Innovationspotenzial (potenzieller Nutzen für zukünftige Patienten)

Beispiel: lysosomale Speicherkrankheiten (M. Gaucher, Fabry)

- Sehr teure Enzymersatz-Therapie
- Hoher ICER: >400.000£/QALY
- Ohne Behandlung: tödlicher Verlauf
- Keine Behandlungs-Alternative
- Großer individueller Nutzengewinn
- (Aber: Preisverhandlungen!)

Kosten ↓
Ergebnis ↓

C

-

III

II

Bei kleinem β evtl. vertretbar

Rationalisierung
⇒ ethisch geboten!

(2.3) Möglichkeiten der Abwägung

(1) Quantitative Integration

- Andere ethische Kriterien in Nutzwertbestimmung integriert (z.B. PTO anstatt TTO oder SG)

(2) Quantitative Transformation

- "Konventionelle" QALYs (basierend auf TTO, SG) mit anderen Faktoren multipliziert (z.B. equity weights)

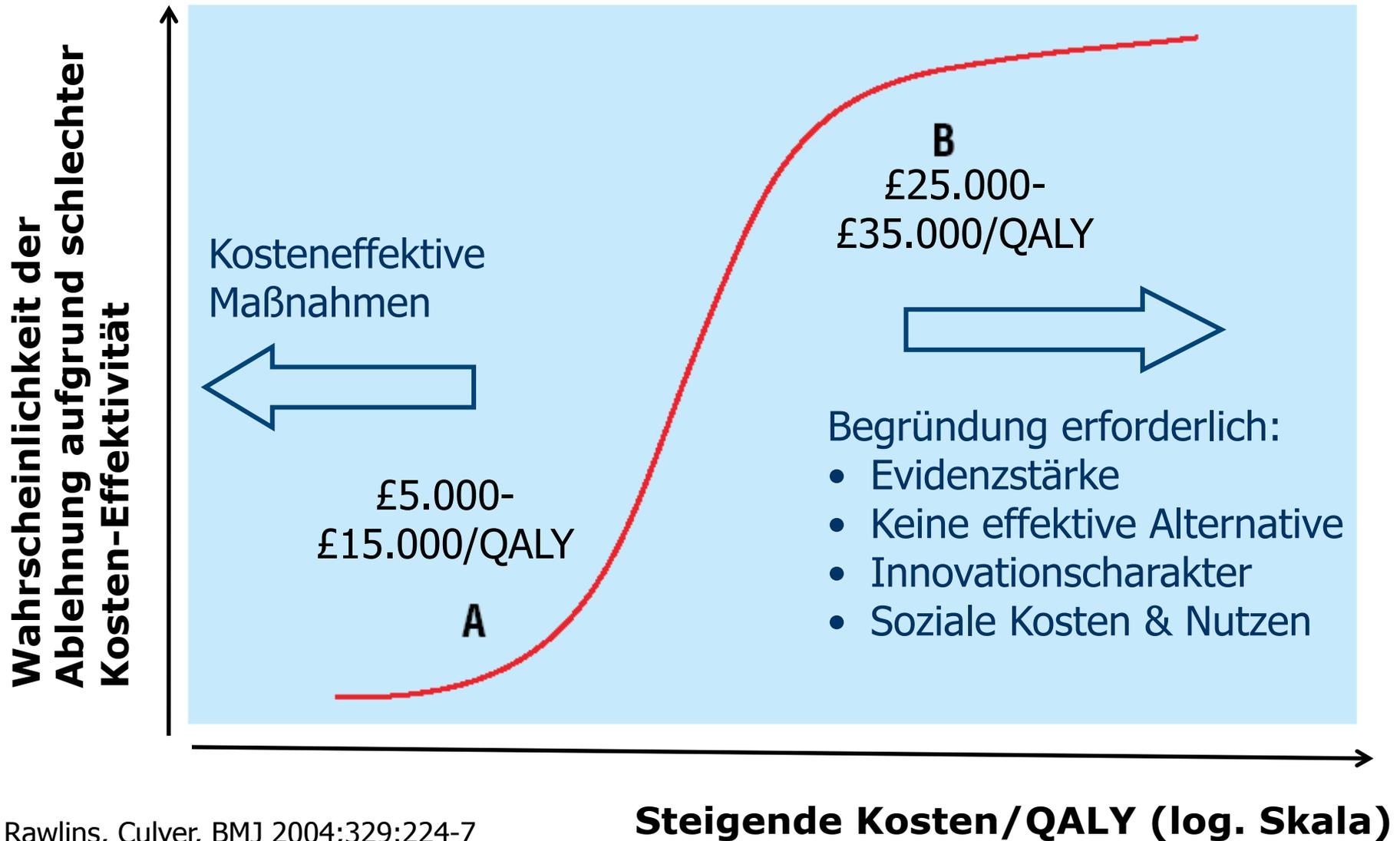
(3) Qualitative Ergänzung (supplementation)

- CEA/CUA mit konventionellen QALYs
- Andere ethische Kriterien in fairem (politischen) Entscheidungsprozess (e.g. NICE, PBAC/Australien)

⇒ (Gegenwärtig) am ehesten praktikable, ethisch vertretbare Option: (3)

- Validität der quantitativen Methoden noch unklar
- Abwägung *transparenter* (nicht in einer Zahl verborgen)

National Institute for Health and Clinical Excellence (NICE)



Rawlins, Culyer, BMJ 2004;329:224-7

(2.3) KNB-Beispiel zur Erläuterung

- Avastin® (Bevacizumab) zu Behandlung des metastasierten Kolorektalen Ca
 - Lebenszeitgewinn: 20,3 vs. 15,6 Monate
 - Behandlungskosten: 17.665 £
 - Kosten-Effektivität: 88.364 £/QALY
- NICE: Kosten-Effektivität zu schlecht ⇒ Keine Kostenübernahme im NHS
- Mögliche ethische Rechtfertigung für Kostenübernahme
 - Kurzer Lebenszeitgewinn vor dem Tod hat große subjektive Bedeutung für den einzelnen Patienten!
 - Individueller Nutzen für Patient rechtfertigt schlechte Kosteneffektivität
 - Aber: Berücksichtigung individueller Patientenpräferenzen: ist eine Therapie vom Patienten überhaupt gewünscht?
- ⇒ Kosten-Nutzen-Verhältnis muss mit anderen ethisch relevanten Überlegungen abgewogen werden!

KNB-Beispiel: DES vs. BMS bei KHK

Kosteneffektivitäts-Verhältnisse	Preisdifferenz DES – BMS	
	400 €	800 €
Alle Patienten	98.000 €/QALY	227.000 €/QALY
Lange Läsionen (>15mm)	62.000 €/QALY	167.000 €/QALY
Kleine Gefäße (< 3mm)	33.000 €/QALY	126.000 €/QALY

Kostenübernahme nur wenn (vgl. NICE TA 152):

- das zu behandelnde Zielgefäß einen Durchmesser von weniger als 3 mm hat oder die Läsion länger als 15 mm ist **und**
- der Preisunterschied zwischen DES und BMS nicht mehr als 400 Euro beträgt.

(Ausführlichere Version: www.ieg.m.uni-tuebingen.de/allokation)

Grundlage: Valide Nutzenbewertung

- Probleme zum Zeitpunkt der Zulassung (u.a.)
 - Unvollständige/verzerrte Publikation der Daten
 - Keine patientenrelevanten Endpunkte
 - Hoch selektive Studienpopulation
 - Kein Vergleich mit Alternative
- Unabhängige Studien nach Zulassung ⇒ Patientennutzen unter Routinebedingungen abschätzen
- Frühe Nutzenbewertung (AMNOG) problematisch
 - keine definitiven Preis-Festlegungen
 - Primärer Zweck: Identifizierung von weiterem Forschungsbedarf zur validen Abklärung des Patientennutzens
- Studien zur Nutzenbewertung sollten spätere Kosten-Nutzen-Bewertung berücksichtigen

(2.4) Faire Entscheidungsverfahren

- KNB erfordert notwendig Werturteile (bereits die Erstellung der Methodik!)
- Wissenschaft: Analyse des Kosten-Nutzen-Verhältnisses
- Faire Entscheidungsverfahren: *Bewertung* der Kosten-Nutzen-Verhältnisse ⇨ Festlegung von Höchstpreisen
 - Kosten-Nutzen-Verhältnis
 - Individueller Nutzengewinn
 - Evidenzstärke für Nutzen & Kosten
 - Innovationspotenzial (Nutzen für zukünftige Patienten)
- Anforderungen an faire Entscheidungsverfahren
 - Demokratisch legitimierte Entscheidungs-Institutionen
 - Transparenz, Konsistenz
 - Evidenzbasierung
 - Partizipationsmöglichkeiten für gesellschaftl. Gruppen

Schlussfolgerungen – 4

- (1) Kosten-Nutzen-Bewertung (KNB) ist unter Knappheitsbedingungen ethisch geboten!
- (2) Höchstpreise lassen sich nur über *indikationsübergreifende* Kosten-Nutzen-Vergleiche ethisch gut begründen.
- (3) Die KNB-Methodik des IQWiG bietet *keine* hinreichende ethische Rechtfertigung für die Höchstpreis-Festsetzung.
- (4) Wir brauchen transparente & *faire Entscheidungsverfahren*, um das Kosten-Nutzen-Verhältnis mit anderen ethischen Überlegungen abwägen zu können.

Vielen Dank für Ihre Aufmerksamkeit!

Kontakt:

marckmann@lmu.de

PBAC in Australien (PBS)

- PBAC prüft Medikamente vor Aufnahme in staatlich subv. Pharmaceutical Benefit Scheme (PBS)
- Kriterien (Henry 2008): klinische Bedeutung, Schweregrad der Erkrankung, medizinische Bedürftigkeit, Kosten-Nutzen-Verhältnis, Gesamt-Kosten, Gerechtigkeit, politische Erwägungen!
- Kein expliziter, absoluter Kosteneffektivitäts-Grenzwert
- George et al. 2001: Entscheidungen 1991-1996
 - Cost/LYS – 26; Cost/QALY – 9 (von 355 Anträgen!)
 - Aufnahme > 45.000 €/LYS unwahrscheinlich
 - Ablehnung < 25.000 €/LYS unwahrscheinlich
- D. Henry (26.02.08): „impliziter Grenzwert“ ⇔ bei höherem Kosteneffektivitäts-Quotient: Aufnahme unwahrscheinlich, aber nicht ausgeschlossen!

Maßnahme	Kosten eines zusätzl. QALY in £
Cholesteroltest und ausschließliche Diät	220
Neurochirurgischer Eingriff bei einer Kopfverletzung	240
Rat des Hausarztes, das Rauchen einzustellen	270
Antihypertensive Therapie zur Vermeidung eines Schlaganfalls	940
Herzklappenersatz bei einer Aortenstenose	1.140
Cholesteroltest und anschließende Behandlung	1.480
Koronare Bypass-Operation wegen schwerer Angina pectoris	2.090
Nierentransplantation	4.710
Brustkrebsreihenuntersuchung	5.780
Herztransplantation	7.840
Kontrolle des Gesamt-Serumcholesterins und Behandlung	14.150
Koronare Bypass-Operation wegen leichter Angina pectoris	18.830
Ambulante Peritonealdialyse	19.870
Krankenhaus-Hämodialyse	21.970
Erythropoietin Behandlung bei Anämie von Dialyse-Patienten (bei angenommener 10%iger Reduktion der Mortalität)	54.380
Neurochirurgischer Eingriff bei bösartigen intrakraniellen Tumoren	107.780
Erythropoietin Behandlung bei Anämie von Dialyse-Patienten (bei angenommener Konstanz der Mortalität)	126.290

Behandlungs- maßnahme	Erwarteter Nettonutzen der Behandlung	Erwartete Dauer des Nutzens (J)	Kosten (\$)	Prioritäts- grad	Prioritäts- rang
Zahnkrone	0,08	4	38,10	117,6	371
Behandlung einer ektopen Schwangerschaft	0,71	48	4015	117,8	372
Kiefergelenks- schienen	0,16	5	98,51	122,2	376
Entfernung des Blinddarms	0,97	48	5744	122,5	377

QALY – Kritik

- QALY: weit etabliertes generisches, integratives Nutzenmaß (Lebensqualität & Lebensdauer)
- Methodische & ethische Probleme sind bekannt, u.a.:
 - Bestimmung der Nutzwerte, Normative Vorannahmen
 - Keine Berücksichtigung von Krankheits-Schweregrad, Alter, Nutzenverteilung etc.
- Optionen
 - (1) Auf indikationsübergreifende KNB verzichten
⇒ keine hinreichende Grundlage für Entscheidungsträger
 - (2) Klug abgewogene indikationsübergreifende KNB
 - Sensitivitätsanalysen für unterschiedliche Wertannahmen
 - QALYs methodisch weiterentwickeln
 - Kosten-Nutzen-Bewertung: ein Entscheidungskriterium unter anderen ⇒ Berücksichtigung anderer Werte!
- ⇒ Option (2) ist besser als *keine* indikationsübergreifenden Vergleiche!