

Therapien und Gesundheitsleistungen messbar machen

Wie der Nutzen einer medikamentösen Therapie messbar gemacht werden kann, darüber diskutierten Experten des Gesundheitswesens.

Wien, 3. Juli 2018 – Der Nutzen einer neuen medikamentösen Therapie soll messbar gemacht werden, um auf dieser Grundlage Entscheidungen über Preis und Erstattungsmodalität treffen zu können. Die EU-Kommission arbeitet daran, einen solchen Bewertungsprozess EU-weit zu vereinheitlichen. Welche Probleme dabei bestehen und wie schwierig es ist, den Nutzen neuer Arzneimittel gerade im Bereich der seltenen Erkrankungen zu messen, darüber diskutierten Vertreter von Patientenorganisationen, der pharmazeutischen Industrie, Sozialversicherung, Gesundheit Österreich GmbH sowie Mediziner und GesundheitsökonomInnen beim Rare Disease Dialog „Nutzenbewertung/HTA bei seltenen Erkrankungen – (wie) kann es funktionieren?“ der Pharmig Academy.

Das Health Technology Assessment, kurz HTA, ist eines der Instrumente, mit dem eine solche Nutzenbewertung erfolgen kann. Bisher werden HTAs auf nationalstaatlicher Ebene durchgeführt. „Das birgt das Problem, dass ein und dasselbe Medikament in den verschiedenen Ländern hinsichtlich seines Nutzens unterschiedlich bewertet wird. Denn es gibt keine einheitlichen Kriterien, nach denen ein HTA durchzuführen ist“, führte Dr. Alexander Natz, Geschäftsführer von EUCOPE (European Confederation of Pharmaceutical Entrepreneurs) aus. Die EU-Kommission beabsichtigt zwar, EU-weite Kriterien für das HTA einzuführen, doch die Harmonisierung gestaltet sich schwierig. „Die EU-Initiative ‚EUnetHTA‘ war ein Schritt hin zu dieser Vereinheitlichung. Die Koordination hat bisher aber noch nicht so weit funktioniert, dass es auch ein für alle verbindliches HTA gäbe“, so Natz.

Univ. Prof. Mag. Dr. PhD. Wilhelm Frank, MLS beschäftigt sich berufsmäßig mit Gesundheitsmanagement, -ökonomie und Systemforschung. Auch er sieht noch Hürden auf dem Weg zu einem einheitlichen HTA: „Die Methodenentwicklung ist sowohl epidemiologisch als auch gesundheitsökonomisch bei weitem noch nicht abgeschlossen. Daher gibt es bisher noch kein HTA, das auf einer überregionalen, unstrittigen Methode basieren würde. Zudem unterscheiden sich auch die zugrunde liegenden Regeln der Gesundheitssysteme gravierend. Will man das zentralisieren, wären in jedem Fall die verschiedenen Systemperspektiven und die Beteiligten gleichermaßen einzubinden. Auch die Rolle und Verbindlichkeit von HTA sind noch offen.“

Wie Österreich potenziell von verstärkter europäischer Kooperation in der Erstellung klinischer HTA Assessments profitieren könnte, dazu nahm Dr. Brigitte Piso, MPH von der Gesundheit Österreich GmbH Stellung: „In einem verhältnismäßig kleinen Land wie Österreich haben einzelne Institutionen nicht genügend Ressourcen, um die Fülle aller Leistungen, die überprüft werden könnten, auch abzudecken.“ Wo auch immer ein HTA durchgeführt werde, es sei jedenfalls zu beachten, dass damit die Bewertung des (Zusatz-)Nutzens von Therapien lediglich unterstützt werden könne. „Ein HTA beeinflusst die Entscheidungen, kann und soll diese aber nicht vorwegnehmen, beispielsweise ob und in welcher Höhe ein Medikament erstattet werden soll und wie hoch der Preis dafür festzulegen ist“, so Piso.

Laut Prof. Ingrid Pabinger, Abteilungsleiterin am AKH Wien, erlauben HTAs einen kritischen Blick auf Produkte und Leistungen. Dafür brauche es aber valide Daten. „Bei seltenen Erkrankungen benötigen wir zusätzlich zu den Arzneimittelstudien funktionierende Register. Nur wenn wir valide Daten haben, etwa zur Krankengeschichte eines Patienten, zum Ergebnis der Therapie, zu auftretenden Nebenwirkungen, zu etwaigen vorbeugenden Behandlungen usw., können wir Therapien bewerten und entscheiden, wie wir therapieren und woran wir forschen sollen“, so Pabinger. Die pharmazeutische Industrie sei hier in der Pflicht, derartige Register zu fördern. „Aber es wäre außerordentlich wichtig, dass auch öffentliche Institutionen einen Beitrag dazu leisten“, betont die Hämatologin und Leiterin der Gerinnungsambulanz am AKH Wien.

Klare Worte fand auch Privatdozent Dr. Robert Saueremann vom Hauptverband der Sozialversicherungsträger: „Im Bereich seltene Erkrankungen wird von manchen die Frage gestellt, ob ein HTA überhaupt möglich oder sinnvoll ist. Denn wir haben es hier mit der Herausforderung zu tun, dass es oft nur wenige Patienten gibt und Kontroll- und Vergleichsgruppen für klinische Studien schwer aufzustellen sind. Dennoch ist die Frage mit einem klaren Ja zu beantworten. Auch bei Orphan drugs ist ein HTA sinnvoll, um zuerst alle vorliegenden Fakten übersichtlich darzulegen.“ In das an das HTA anschließende Appraisal und bei der Entscheidungsfindung sollen dann solche besondere Aspekte und Abwägungen einfließen können, etwa die Seltenheit oder andere Charakteristika der Erkrankung sowie Schwierigkeiten bei der Studiengestaltung.

Patientenvertreter Dr. Rainer Riedl von Pro Rare Austria betonte, dass jedenfalls das gesamte Familiensystem eines Betroffenen in einem Bewertungsprozess beachtet werden muss. Riedl: „Es geht vor allem auch um die Lebensqualität. Nicht nur die des Patienten, sondern auch jene seines Umfeldes. Es sind auch finanzielle Aspekte zu beachten, wenn jemand aufgrund seiner Krankheit ausfällt oder weil ein Angehöriger wegen der Pflegetätigkeit nicht oder nur teilweise arbeiten gehen kann.“ Riedl plädiert dafür, Patientenvertreter bzw. „Patient Advocates“ frühzeitig in die Diskussion um Therapiebewertungen einzubinden. Als prioritäres Ziel müsste jedoch die Forschung zu seltenen Erkrankungen intensiviert werden. Für 6.000 bis 8.000 Erkrankungen wurden bisher nur 150 spezifische Therapien zugelassen – sogenannte Orphan Drugs. Nur über die Forschung können die notwendigen Daten und Informationen generiert werden, auch für den Nutzenbewertungsprozess.

Wie schwierig es ist, den Nutzen einer Therapie umfassend und richtig zu bewerten, konnte Dr. Jasmin Barman-Aksözen aus erster Hand berichten. Sie ist Patientenvertreterin und arbeitet als Wissenschaftlerin am städtischen Krankenhaus in Zürich. Sie bezeichnete sich als „Doppelagentin“, denn sie war einerseits als Forscherin unmittelbar in die Entwicklung eines Arzneimittels für eine seltene Erkrankung involviert und ist andererseits selbst Betroffene dieser Erkrankung. So konnte sie als Patientenvertreterin auch den Zulassungsprozess des Arzneimittels unterstützen. „Die Patienten hatten dank des neuen Medikaments einen immensen Zuwachs an Lebensqualität. Die Wirkung der Therapie ist aber nur schwer messbar“, so Barman-Aksözen. Ihr spezieller Fall zeigt, welche absurden Ergebnisse durch das heutige HTA-System möglich sind und dass Handlungsbedarf besteht. „Die europäische Arzneimittelbehörde hat zwar bestätigt, dass die Effekte der Therapie lebensverändernd sind, aber in der Bewertung wurden die Ergebnisse von Studien in einem Mittelwert zusammengefasst, der nichts mit dem zu tun hat, was wir als Patienten tatsächlich erleben.“ Die unterschiedliche, meist missverständliche Interpretation dieses Mittelwertes führt dazu, dass das Arzneimittel in einem Land gänzlich erstattet wird, in einem anderen dafür gar nicht verfügbar ist. „Das ist nicht verständlich. Die Krankheit ist dieselbe, egal wo ich lebe. Daher sollte auch jeder Betroffene denselben Zugang zur Therapie haben“, so Barman-Aksözen.

Die „Real World Evidence“, sprich das zu bewerten, was medikamentöse Therapien den einzelnen wirklich bringen und wie sehr sie sich auf die Lebensqualität eines jeden einzelnen auswirken, sei tatsächlich ein Problem, hielt auch Paul Just, Sozialwissenschaftler und Forscher der Bioethics Research Group des Ludwig Boltzmann Institute for Rare and Undiagnosed Diseases (LBI-RUD), fest. Positiv sei, dass die Stimme der Patienten zunehmend Gehör finde, wenn es um Methoden zur Messbarkeit der Lebensqualität gehe.

Dr. Anna Vavrovsky, Gründerin und Managing Partner der Academy for Value in Health GmbH sowie Moderatorin des Abends, hielt abschließend fest, dass die Diskussion zweifellos zeige, dass es noch ein weiter Weg bis zu einer einheitlichen Bewertungsmethode sei: „Da herrscht noch viel Dialogbedarf, um die Bedürfnisse der einzelnen Gruppen, von Patienten über Ärzte bis zu Zahlern und Vertretern der Industrie in ein funktionierendes Mess-Instrument zu integrieren“, so Vavrovsky. Ein Aufruf an alle Betroffenen sich einzubringen, speziell im Bereich der seltenen Erkrankungen und jenen Bereichen, in denen es schwierig ist, vergleichbare Kriterien oder übliche Standards heranzuziehen.

Fotos von der Veranstaltung finden Sie [hier](#).

[Rückfragehinweis](#)

Pharmig – Verband der pharmazeutischen Industrie Österreichs

Head of Communication & PR

Peter Richter, BA MA

Tel. 01/40 60 290-20

peter.richter@pharmig.at

pharmig.at

Über die Pharmig: Die Pharmig ist die freiwillige Interessenvertretung der österreichischen Pharmaindustrie. Derzeit hat der Verband 120 Mitglieder (Stand Juni 2018), die den Medikamenten-Markt zu gut 95 Prozent abdecken. Die Pharmig und ihre Mitgliedsfirmen stehen für eine bestmögliche Versorgungssicherheit mit Arzneimitteln im Gesundheitswesen und sichern durch Qualität und Innovation den gesellschaftlichen und medizinischen Fortschritt.