

# Neue Wege der Kosten-Nutzen-Bewertung in der Medizin?

## Anmerkungen zum Methodenvorschlag des Instituts für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen

von Jürgen John<sup>1</sup>

### ABSTRACT

**Das GKV-Wettbewerbsstärkungsgesetz** von April 2007 ermächtigt den Gemeinsamen Bundesausschuss, das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) mit der Kosten-Nutzen-Bewertung von Arzneimitteln zu beauftragen. Nach einem ersten im Januar 2008 vorgelegten Entwurf hat das IQWiG im Oktober 2008 eine überarbeitete Fassung seines Methodenvorschlags publiziert. Die Analyse des vom IQWiG favorisierten Konzepts der Effizienzgrenze zeigt, dass dessen primäres Ziel, allein aus Informationen über Nutzen und Kosten von existierenden medizinischen Therapien wissenschaftlich begründete Empfehlungen für die Festsetzung von Höchstbeträgen für Arzneimittel abzuleiten, nicht erreicht worden ist. Die vorgeschlagene Methodik der Kosten-Nutzen-Bewertung weist Unzulänglichkeiten auf. Zu zentralen Punkten der ökonomischen Evaluationsmethodik werden teils keine, teils widersprüchliche und teils inakzeptable Empfehlungen gegeben. Der Vorschlag in seiner jetzigen Fassung ist zur Unterstützung von Entscheidungen über Höchstbeträge für neue Arzneimittel nicht geeignet.

**Schlüsselwörter:** Gesundheitsökonomische Evaluation, Methoden, Arzneimittel, Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen, Kosten-Nutzen-Bewertung

*Since the “Act to strengthen competition in Statutory Health Insurance” (GKV-Wettbewerbsstärkungsgesetz) came into force in April 2007, the Federal Joint Committee can commission the Institute for Quality and Efficiency in Health Care (IQWiG) to assess the costs and benefits of drugs. After having provided a draft for consultation in January 2008, IQWiG published a revised version of its methodology guideline in October 2008. The analysis of the efficiency frontier approach proposed by IQWiG shows that the institute failed to reach its aim to find a sound method to derive recommendations for ceiling prices for new drugs exclusively from information on the costs and benefits of existing medical therapies. The proposed methods for assessing the cost effectiveness of new medical technologies have various deficiencies. Proposals for key methodological issues in health economic evaluation are to some extent non-existent, inconsistent or scientifically unacceptable. All things considered, the guideline proposed by IQWiG in its present form is not suitable as decision support in fixing ceiling prices for new drugs.*

**Keywords:** Health economic evaluation, methodology, drugs, Institute for Quality and Efficiency in Health Care, cost-effectiveness analysis

## 1 Einleitung

Um eine qualitativ hochwertige und innovative medizinische Versorgung der Bevölkerung auch bei zunehmenden Finanzierungsproblemen zu sichern, sind in den letzten Jahren viele Staaten dazu übergegangen, Entscheidungen über den Einsatz

und die Kostenerstattung neuer Medizintechnologien nicht nur vom Nachweis ihres medizinischen Nutzens, sondern auch von den Ergebnissen ökonomischer Evaluationen abhängig zu machen (Greiner 2007; Zentner und Busse 2006).

In Deutschland haben solche Evaluationen bei der Regulierung des Einsatzes und der Kostenerstattung von medizinischen Innovationen lange Zeit keine Rolle gespielt (Niebuhr et

<sup>1</sup> Dr. rer. pol. Jürgen John, Helmholtz Zentrum München – Deutsches Forschungszentrum für Gesundheit und Umwelt, Institut für Gesundheitsökonomie und Management im Gesundheitswesen · Ingolstädter Landstraße 1 · 85764 Neuherberg · Telefon: 089 3187-4129 · Telefax: 089 3187-3375 · E-Mail: john@helmholtz-muenchen.de

al. 2004). Erst als Folge des GKV-Wettbewerbsstärkungsgesetzes vom April 2007 bahnte sich hier eine Veränderung an. Die Novellierung des Paragraphen 35b Sozialgesetzbuch (SGB) V ermächtigt den Gemeinsamen Bundesausschuss, das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) nicht nur wie bisher mit einer Nutzenbewertung, sondern auch mit einer Kosten-Nutzen-Bewertung von Arzneimitteln zu beauftragen. Kosten-Nutzen-Bewertungen können für jedes erstmals verordnungsfähige Arzneimittel mit patentgeschützten Wirkstoffen sowie für andere bedeutsame Arzneimittel erstellt werden. Sie bilden die Grundlage für die Festsetzung von Höchstbeträgen für Arzneimittel. Solche Höchstbeträge muss der GKV-Spitzenverband nunmehr nach Pragraf 31 Absatz 2a SGB V für alle nicht festbetragsfähigen Arzneimittel festsetzen, es sei denn, ihre Kosteneffektivität ist erwiesen oder es fehlt eine Therapiealternative.

Das IQWiG bestimmt die Methoden der Bewertung des Kosten-Nutzen-Verhältnisses von Arzneimitteln selbst, ist dabei aber gesetzlich an die internationalen Standards der Gesundheitsökonomie gebunden. Den Auftrag des Gesetzgebers aufgreifend hat das IQWiG mit Unterstützung eines internationalen Expertengremiums einen ersten Entwurf der „Methodik für die Bewertung von Verhältnissen zwischen Nutzen und Kosten im System der deutschen gesetzlichen Krankenversicherung“ (im Folgenden kurz Kosten-Nutzen-Bewertung oder KNB genannt) entwickelt und diesen am 24. Januar 2008 der Fachöffentlichkeit vorgestellt (IQWiG 2008a). Bei der anschlie-

ßenden Überarbeitung wurden einzelne Argumente aus den zum Entwurf eingegangenen Stellungnahmen berücksichtigt. Am 9. Oktober 2008 hat das IQWiG eine überarbeitete, in den wesentlichen Punkten aber unveränderte Version (IQWiG 2008c) sowie drei technische Anhänge veröffentlicht (IQWiG 2008d; IQWiG 2008e; IQWiG 2008f).

Der vorliegende Beitrag stellt zunächst die neue Version der KNB kurz dar und setzt sich dann mit ausgewählten Aspekten der vorgeschlagenen Methodik auseinander. Dabei stehen das Konzept der Effizienzgrenze, die Perspektive der Evaluation sowie die Nutzen- und die Kostenbestimmung im Mittelpunkt der Ausführungen. Ausgeklammert bleiben neben zahlreichen weiteren Methodenfragen (Krauth et al. 2008; Drummond und Rutten 2008) auch die – durchaus wichtigen – Verfahrensfragen des Ablaufs der Bewertung (Bekkering und Kleijnen 2008).

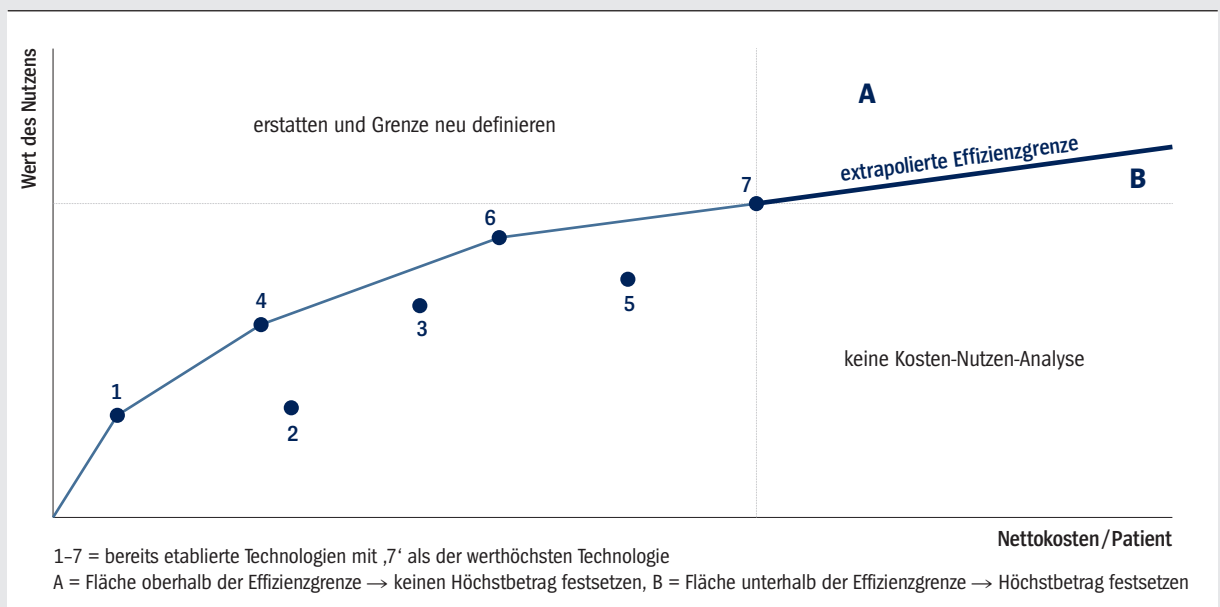
## 2 Der Vorschlag des IQWiG zur Kosten-Nutzen-Bewertung

### 2.1. Aufbau und Inhalt des Methodenpapiers

Das Methodenpapier gliedert sich im Anschluss an eine allgemeine Einführung in drei weitere Abschnitte. Der erste Abschnitt „Grundlagen der ökonomischen Bewertung“

ABBILDUNG 1

### Konzept der Effizienzgrenze



beschreibt die methodischen Grundlagen der Effizienzanalyse und die darauf aufbauende Ableitung von Handlungsempfehlungen für die Entscheidungsträger. Der Abschnitt „Kostenbestimmung“ enthält Anleitungen zur Durchführung der Kostenanalyse. Im letzten Abschnitt wird mit der Budget-Impact-Analyse ein Instrument präsentiert, das der Identifizierung der finanziellen Auswirkungen einer neuen erstattungsfähigen Medizintechnologie auf den Haushalt der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) dienen soll. Das Hauptdokument des Methodenvorschlags ist weitgehend konzeptionell orientiert und befasst sich nur punktuell mit methodischen Detailfragen. Diese werden in den technischen Anhängen erörtert, die das IQWiG zu den Themenbereichen Kostenbestimmung, Modellierung und Unsicherheit vorgelegt hat (IQWiG 2008d; IQWiG 2008e; IQWiG 2008f).

## 2.2 Die Effizienzgrenze

### 2.2.1 Konstruktion der Effizienzgrenze

Das Kernstück des Vorschlags zur Methodik der Kosten-Nutzen-Bewertung bildet die sogenannte Effizienzgrenze. Grafisch veranschaulicht wird das Konzept der Effizienzgrenze in Abbildung 1: „Die Grafik der Effizienzgrenze ist eine Abbildung der Werte der Gesundheitseffekte, die von verfügbaren Interventionen innerhalb eines Indikationsbereiches erzielt werden, in Bezug zu den Nettokosten, die dadurch entstehen“ (IQWiG 2008, S.16).

Die Effizienzgrenze verbindet die effizienten Behandlungsalternativen in einer definierten Indikation zu einer streng steigenden, konkaven Kurve. Dieser Verlauf ergibt sich aus der allgemein üblichen Annahme, jede Linearkombination zweier Alternativen sei realisierbar. Hieraus folgt, dass alle absolut oder erweitert dominierten Alternativen ineffizient sind und daher unterhalb der Effizienzgrenze liegen. Diese zeigt für alle effizienten Technologien, welche Zusatzkosten mit dem Zusatznutzen der bezüglich des Nutzens jeweils besseren Alternative verbunden sind. Die Analyse folgt damit dem in der gesundheitsökonomischen Evaluation allgemein angewendeten Inkrementalprinzip. Neu im Vergleich zur üblichen Vorgehensweise ist insoweit zunächst nur, dass der Auswahl der für die Bewertung einer neuen Technologie geeigneten Vergleichstechnologie die Konstruktion der Effizienzgrenze vorausgeht und daher auch auf die Annahme verzichtet werden kann, alle als Vergleichstechnologien in Betracht gezogenen Technologien seien effizient.

Neu ist darüber hinaus aber auch, dass auf der Ordinate nicht das Gesundheitsergebnis („Nutzen“), sondern dessen Wert abgetragen wird. Kardinale Messbarkeit wird somit nicht für die Ergebnis-, sondern für die Wertdifferenzen zwischen den Interventionen unterstellt. Diese methodische Besonderheit ist in der Diskussion des IQWiG-Vorschlags meist übersehen und daher in ihren Implikationen nicht erkannt worden. Dies liegt teils daran, dass in der deutschen

Version des Methodenvorschlags der Begriff „Nutzen“ ebenso nachlässig wie verwirrend zur Bezeichnung sowohl des gesundheitlichen Ergebnisses (englisch: „benefit“) als auch des diesem Ergebnis zugesprochenen Werts (englisch: „value“) verwendet wird. Teils liegt dies wohl auch daran, dass in der Beschreibung des Prozessablaufs der gesundheitsökonomischen Evaluation (IQWiG 2008c, Abbildung 2-7, S.25) eine Transformation von Nutzen in Wert nur bei nicht kardinal skaliertem Nutzen vorgesehen ist. Dies ist aber – worauf das Methodenpapier selbst ausdrücklich hinweist (IQWiG 2008c, S.4) – nur zulässig, wenn zwischen der Größe eines kardinal gemessenen Gesundheitseffekts und dessen Wert eine proportionale Beziehung angenommen wird. Dies kann jedoch nicht a priori unterstellt werden, sondern bedarf im konkreten Einzelfall einer Begründung. Insoweit ist der beschriebene Prozessablauf mit der konzeptionellen Grundlegung der Effizienzgrenze nicht kompatibel.

### 2.2.2 Ableitung von Empfehlungen zum Höchstbetrag

Die Ermittlung der Effizienzgrenze soll das IQWiG in die Lage versetzen, eine nach dem Willen des Gesetzgebers vom IQWiG geforderte Handlungsempfehlung bezüglich der Notwendigkeit der Festsetzung eines Höchstpreises abzuleiten. Eine solche Ableitung stößt jedoch auf erhebliche Schwierigkeiten, nicht zuletzt wegen der vielfältigen Probleme, die mit der Messung des Gesundheitsnutzens einer Technologie verbunden sind. Von diesen Problemen soll hier aber zunächst abgesehen werden; es sei angenommen, es gebe ein solches Messverfahren, das allen methodischen Ansprüchen in idealer Weise genügt.

Der IQWiG-Vorschlag zur Ableitung einer Handlungsempfehlung sei anhand von Abbildung 1 erläutert. Kommt zu den dort eingezeichneten bisher vorhandenen sieben Technologien eine neue Technologie hinzu, so sind dem Methodenpapier zufolge drei Situationen zu unterscheiden:

- Für die neue Technologie wird in der Nutzenbewertung, die einer Kosten-Nutzen-Bewertung vorausgeht, kein Zusatznutzen identifiziert. Das heißt: Der Nutzen der neuen Technologie ist nicht größer als der von Technologie 7. In diesem Fall entfällt die Kosten-Nutzen-Bewertung. (Hierzu ist anzumerken: Aus ökonomischer Sicht wäre es bei nachgewiesener Äquivalenz vernünftig, eine ökonomische Evaluation durchzuführen, um etwaige Kosteneinsparpotenziale der neuen Technologie aufzeigen zu können.)
- Für die neue Technologie wird ein Zusatznutzen identifiziert, und sie ist weniger kostspielig als Technologie 7. In diesem Fall dominiert die neue Technologie die bisher wert höchste Alternative, und sie ist ohne Einschränkung zu erstatten. Die neue Technologie zieht eine entsprechende Veränderung des Verlaufs der Effizienzkurve nach sich.
- Für die neue Technologie wird ein Zusatznutzen identifiziert, und sie ist gleichzeitig teurer als Technologie 7. Es ist dies die Situation, in der die Kosten-Effektivitäts-Analyse keine Entscheidungsregel beinhaltet und in der üblicher-

weise vorgeschlagen wird, auf ein externes Zahlungsbereitschaftskriterium zurückzugreifen. Der KNB 1.1 zufolge soll dagegen zur Ableitung einer Empfehlung auf die inkrementelle Kosten-Effektivitäts-Relation (IKER) der bisher werthöchsten Technologie (Technologie 7) zurückgegriffen werden. Hierfür wird das entsprechende Segment der Effizienzgrenze in den Nordost-Quadranten der Kosten-Effektivitäts-Ebene extrapoliert. Weist die neue Technologie eine bessere IKER als Technologie 7 auf, liegt sie also oberhalb der extrapolierten Effizienzgrenze in Fläche A, sollte das IQWiG empfehlen, von der Festsetzung eines Höchstbetrags abzusehen. Ist die neue Technologie weniger effizient als Technologie 7, liegt sie also unterhalb der extrapolierten Effizienzgrenze in Fläche B, sollte das IQWiG empfehlen, einen Höchstbetrag für das Arzneimittel festzusetzen.

Der Verwendung der IKER der bisher werthöchsten Technologie als Beurteilungsmaßstab ist eine gewisse Schlüssigkeit nicht abzuspüren: Da auf der Ordinate der Abbildung nicht der Gesundheitseffekt, sondern dessen kardinalskaliertes Wert abgetragen wird, ist davon auszugehen, dass zwei als gleich groß betrachtete Wertzuwächse mit gleich großen Zuwächsen in der Zahlungsbereitschaft korrespondieren. Andernfalls müsste man fragen, was sonst mit der Aussage, zwei Wertdifferenzen seien gleich groß, überhaupt gemeint sein könne. Gelingt daher die Transformation von gemessenen in kardinalskalierte bewertete Gesundheitsergebnisse, so erscheint auch die Extrapolation der Effizienzgrenze zur Ableitung einer Handlungsempfehlung nicht unplausibel: Als akzeptabel gelten Mehrkosten der neuen Technologie in einer Höhe, die mit dem gesellschaftlich akzeptierten Verhältnis von Wertzuwachs und Kostensteigerung der bisher werthöchsten Technologie in Einklang zu bringen ist. Dieses Vorgehen setzt freilich eine wissenschaftlich fundierte Methodik der Transformation gemessener Gesundheitsergebnisse in deren kardinalskalierte Werte voraus. Insofern überrascht es sehr, dass die KNB keinerlei Ausführungen dazu enthält, wie diese Transformation zu bewerkstelligen sei. Damit bleibt auch unklar, warum der IQWiG-Vorschlag auf die nahe liegende Forderung nach proportionalskalierter Wertmessung verzichtet. Diese hätte zu der bewährten Entscheidungsregel zurückgeführt, dass eine Alternative nur dann einer anderen vorzuziehen ist, wenn ihre (zusätzlichen) Kosten ihren (zusätzlichen) Wert nicht übersteigen.

Auch die in der Darstellung des Prozessablaufs vorgeschlagene Vorgehensweise, im Falle kardinal gemessener Gesundheitseffekte diese direkt als Korrelate ihres Werts in das Koordinatensystem zu übertragen, löst das Bewertungsproblem nur scheinbar. Sie hat zudem für die Ableitung einer Empfehlung eine aus ökonomischer Sicht äußerst nachteilige Implikation: Sie macht die Größe des ohne Überschreitung der Effizienzgrenze möglichen Preiserhöhungsspielraums für ein neues Medikament von dem in der Indi-

kation herrschenden Kostenniveau abhängig. Dies sei anhand von Abbildung 2 erläutert.

In den beiden Indikationsgebieten A und B gebe es je zwei medikamentöse Behandlungsoptionen. Es sei angenommen, dass nur Arzneimittelkosten anfallen, dass also die auf der Abszisse abgetragenen Nettokosten der Therapien mit den Arzneimittelkosten identisch sind. Nun gebe es in beiden Indikationsgebieten ein neues Medikament mit identischem Zusatznutzen. Damit sind die prozentualen Preiserhöhungsspielräume in beiden Indikationen identisch. Im Zahlenbeispiel der Abbildung 2 impliziert dies, dass im Indikationsgebiet A eine Preiserhöhung von 20 Euro ohne Einschränkung der Erstattung akzeptiert wird, während der Preiserhöhungsspielraum im Indikationsgebiet B für einen Zusatznutzen gleicher Größe auf 2 Euro beschränkt ist.

Soll bei Befürwortung eines Höchstbetrags auch eine Empfehlung über dessen Höhe abgegeben werden, so ist der IQWiG-Vorschlag mit einer weiteren Schwierigkeit konfrontiert. In der Logik des Verfahrens läge es, einen Höchstbetrag zu empfehlen, der die Nettokosten der neuen Technologie so weit absenkt, dass sie auf der extrapolierten Effizienzgrenze zu liegen kommt. Es ist aber a priori keineswegs sicher, ob dies überhaupt möglich ist. Der Einsatz eines neuen Medikaments kann – etwa im Falle einer lebensverlängernden Wirkung – dazu führen, dass es keinen Höchstbetrag größer null gibt, durch den die Mehrkosten auf das durch die Effizienzgrenze gegebene Maß reduziert werden. Es bleibt offen, wie in dieser Situation Empfehlungen zur Höhe des Höchstbetrags abgeleitet werden können.

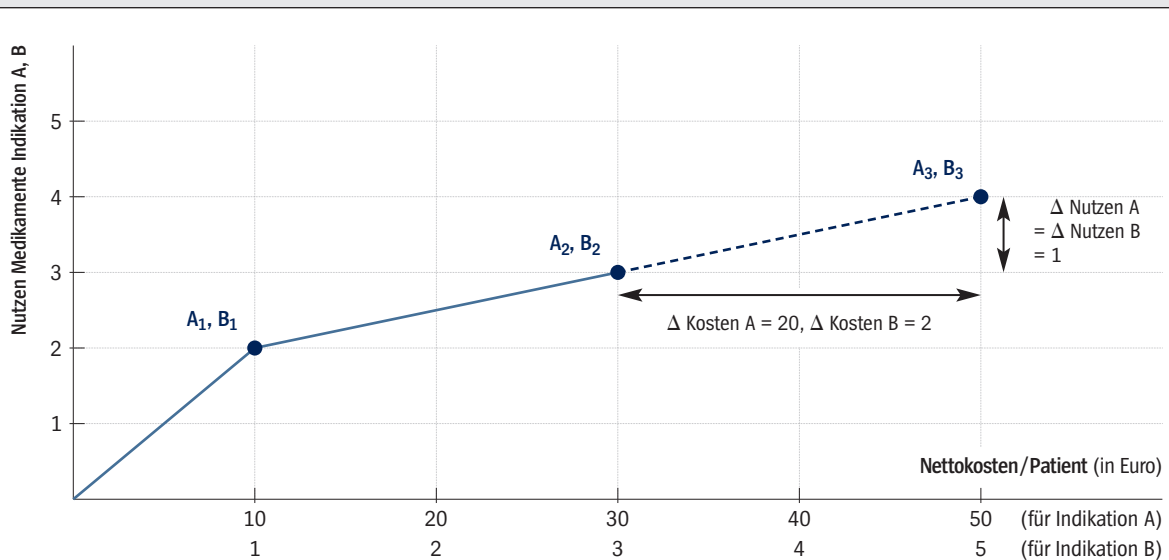
Schließlich sei auf ein Problem hingewiesen, das nicht dem Methodenpapier zur Last gelegt werden kann, aber dennoch eine Lösung erfordert: Die Kosten-Nutzen-Bewertung eines Medikaments, das für verschiedene Indikationen zugelassen ist, kann zu indikationsspezifisch unterschiedlichen Ergebnissen bezüglich der Notwendigkeit der Festsetzung eines Höchstbetrags führen. Es ist nicht klar, wie sich in diesem Fall die Umsetzung der Höchstbetragsregelung des Paragraphen 31 Absatz 2a SGB V gestalten soll; die Logik der gesetzlichen Regelung würde die nicht vorgesehene Festsetzung indikationsspezifischer Höchstpreise implizieren.

## 2.3 Perspektive

Die Perspektive, aus der die Kosten-Nutzen-Bewertung durchzuführen ist, ist in Paragraph 35b Absatz 1 SGB V festgelegt. Danach soll die „Angemessenheit und Zumutbarkeit einer Kostenübernahme durch die Versichertengemeinschaft“ überprüft werden. In der KNB 1.0 interpretierte das IQWiG diese Vorschrift in dem Sinne, dass die Evaluation aus der Perspektive der GKV durchzuführen sei, wobei aber, um Verzerrungen der Analyse zu vermeiden, auch die „Kosten, die in Eigenleistungen von den Versicherten aufzubringen sind, ... mit eingeschlossen werden (sollten)“ (IQWiG 2008a, S.34). Konkretisiert wurde diese Interpretation in den Ausführun-

## ABBILDUNG 2

## Tolerierter Preisanstieg nach dem Konzept der Effizienzgrenze



In den Indikationsgebieten A und B gebe es 2 neue Medikamente  $A_3$  und  $B_3$  mit Nutzenzuwachs von jeweils 1 Einheit.  
Erstattungshöchstbetrag: 50 Euro für  $A_3$  und 5 Euro für  $B_3$ .

Quelle: John 2009

gen zur Kostenabschätzung, in denen empfohlen wurde, neben den von der GKV getragenen Kosten auch die „Out-of-Pocket-Ausgaben“ der Versicherten für die medizinische Versorgung einzubeziehen (IQWiG 2008a, S.59).

Diese Gesetzesauslegung ist in den Stellungnahmen zur KNB 1.0 auf massive Kritik gestoßen: Es handle sich um eine zu enge und arbiträre Grenzziehung, die vernachlässige, dass es sich bei den Versicherten um Zahler nicht nur von GKV-Beiträgen und „Out-of-Pocket-Ausgaben“, sondern auch von Steuern und Beiträgen zu den anderen Zweigen der Sozialversicherung handle. Zudem berge diese Grenzziehung auch das Risiko ineffizienter Kostenerstattungsentscheidungen in sich. Überwiegend wurde von der Kritik vorgeschlagen, die Kostenanalyse aus einer umfassenden gesellschaftlichen Perspektive durchzuführen, also alle Kosten zu berücksichtigen, unabhängig davon, wer sie zu tragen habe.

Das IQWiG ist diesen Einwänden durch die Klarstellung begegnet, dass in die Kostenanalyse alle Kosten einzubeziehen seien, bei denen es sich um „die von der GKV abgedeckten krankheitsbezogenen Leistungen ... und ebenfalls jene, die durch die Versicherten sowie andere Kostenträger aufzubringen sind“ (IQWiG 2008c, S.34) handle, ohne allerdings auszuführen, an welche anderen Kostenträger dabei zu denken sei. Zudem beharrt das IQWiG weiter auf seiner mit Praktikabilitätsüberlegungen begründeten Ablehnung der gesellschaftlichen Perspektive. Dennoch hält es gleichzeitig offenbar die

Analyse von Produktivitätsveränderungen für machbar, wenn es darauf hinweist, dass diese Kosten nicht einbezogen, sondern getrennt von der Evaluation abgeschätzt und berichtet werden sollten (IQWiG 2008c, S.34).

Nachdem das IQWiG in der KNB 1.1 ausdrücklich betont, dass die Perspektive der Versichertengemeinschaft weder mit der gesellschaftlichen noch mit der GKV-Perspektive identisch sei, stellt sich die Frage, wie diese Perspektive empirisch zu bestimmen ist. Überraschend bleibt der technische Anhang Kostenbestimmung hierauf eine Antwort schuldig: Gänzlich inkonsistent mit dem Hauptdokument der KNB gibt der Anhang Anleitungen zur Durchführung der Kostenanalyse nur aus der gesellschaftlichen und der GKV-Perspektive. Wie eine Kostenanalyse aus der Perspektive der Versichertengemeinschaft anzulegen sei, wird nicht im Ansatz thematisiert. Allein dieser Sachverhalt erlaubt das Urteil, dass die KNB 1.1 nicht umsetzungsreif ist.

## 2.4 Nutzen

### 2.4.1 Nutzenbewertung im zweistufigen Bewertungsverfahren

Der Vorschlag des IQWiG geht von einem zweistufigen Bewertungsverfahren aus. Im ersten Schritt wird bewertet, ob die neue Technologie verglichen mit den bisherigen Behandlungsoptionen einen Zusatznutzen aufweist. Trifft dies zu, wird im zweiten Schritt die Kosten-Nutzen-Bewer-



tung durchgeführt (*IQWiG 2008c, S.VI*). Das Verhältnis der in beiden Schritten enthaltenen Nutzenbewertungen zueinander ist ein zentraler Punkt in der Auseinandersetzung über die KNB. Vor allem die beiden folgenden Positionen stoßen hier aufeinander: (1) die Ansicht, dass sich die Kosten-Nutzen-Bewertung nur auf den Zusatznutzen beziehen könne, der in der vorangegangenen Nutzenbewertung unter strikter Anwendung der auf den Prinzipien der evidenzbasierten Medizin beruhenden IQWiG-Leitlinien zur Nutzenbewertung (*IQWiG 2008b*) identifiziert worden ist, und (2) die Forderung, dass die Nutzenbewertung schon im ersten Schritt alle Aspekte mit einschließen müsse, die in der Kosten-Nutzen-Bewertung von Bedeutung seien, um eine Verfälschung der letzteren zu vermeiden. Der IQWiG-Vorschlag folgt im Grundsatz der erstgenannten Position, auch wenn einzelne Formulierungen der KNB die Möglichkeit erweiterter Nutzenkonzepte andeuten.

Ob sich methodische Grundsätze einer Nutzenmessung entwickeln lassen, die den Sichtweisen sowohl der Medizin als auch der Ökonomie gerecht werden, erscheint eher zweifelhaft. Die prononcierte Betonung des Prinzips der Schadensvermeidung („*primum nil nocere*“) und der Vermeidung des Fehlers erster Art sind Charakteristika der medizinischen Nutzenbewertung, die mit der sich an der Erwartungstheorie orientierenden Betrachtungsweise der Ökonomie schwer in Einklang zu bringen sind. Allerdings ist zu fragen, ob ein gemeinsames Konzept überhaupt notwendig ist. Die These des IQWiG, es könne andernfalls dazu kommen, dass die vorhergehende Nutzenbewertung durch die Ergebnisse der Nutzenbewertung im Rahmen der ökonomischen Evaluation konterkariert werde, ist nicht von praktischer Relevanz: Da schon im ersten Schritt des Verfahrens darüber entschieden wird, ob ein neues Medikament überhaupt zulasten der gesetzlichen Krankenversicherung ordnungsfähig ist, kann eine positive Bewertung nicht dadurch herbeigeführt werden, dass in der ökonomischen Bewertung Nutzen „erzeugt“ wird, für den keine Evidenz gefunden werden konnte.

#### 2.4.2 Nutzenbewertung bei multiplen Endpunkten

Das Kernproblem der Nutzenmessung ist die Bestimmung eines Scores, der alle relevanten Nutzenaspekte in einem kardinalen Index aggregiert. Wie dies geschehen soll, wird in der KNB 1.1 nicht ausgeführt. Der Hinweis, dass die hierfür relevanten methodischen Schritte bereits im ersten Schritt der Nutzenbewertung umgesetzt werden müssen (*IQWiG 2008c, S.26*), ist wenig hilfreich, da auch die Leitlinien zur Nutzenbewertung (*IQWiG 2008b*) keinerlei substanzielle Ausführungen hierzu enthalten.

Die Instrumente der präferenzbasierten Lebensqualitätsmessung und das auf ihnen beruhende Konzept qualitätskorrigierter Lebensjahre (QALYs) werden vom IQWiG als Ansatz einer umfassenden kardinalen Messung von Gesundheitsergebnissen skeptisch beurteilt. Es mag gute Gründe für diese

Skepsis geben; es kann aber kaum Zweifel daran geben, dass es sich um die am weitesten entwickelten und am eingehendsten untersuchten Methoden zur summativen Messung multipler Endpunkte handelt, die derzeit am ehesten die Möglichkeit bieten, das Ziel einer nachvollziehbaren, praktikablen und wissenschaftlich fundierten Einbindung der Nutzenbewertung in die nach Paragraf 35b SGB V erforderliche Kosten-Nutzen-Bewertung zu erreichen. Leider enthalten die Vorbehalte des IQWiG gegen das QALY-Konzept auch Missverständnisse, etwa wenn dem Konzept die mangelnde Berücksichtigung distributiver Aspekte attestiert wird (*IQWiG 2008h, S.5*); dies wäre ein Einwand gegen das Zielkriterium der QALY-Maximierung, nicht aber gegen die Messung gesundheitlicher Ergebnisse mit Hilfe von QALYs.

Die Autoren begnügen sich somit bei einer zentralen Methodenfrage mit der Nennung allgemeiner Anforderungen (*IQWiG 2008c, S.26*), ohne aufzuzeigen, wie die Nutzenbewertung diesen Anforderungen gerecht werden könnte. Dies wirft die Frage auf, wie weit das Konzept der Effizienzgrenze für die Ableitung von Handlungsempfehlungen trägt, solange das Problem der Aggregation von Endpunkten nicht gelöst ist. Eine endpunktspezifische Analyse ist jedenfalls nicht sinnvoll, wenn gleichzeitig auf der Kostenachse des Koordinatensystems der über alle Nutzendimensionen hinweg anfallende Ressourcenaufwand abgebildet wird. Abgesehen von diesem grundsätzlichen Einwand kann es ohne Aggregation der Nutzendimensionen für die einzelnen Endpunkte zur Ableitung unterschiedlicher Implikationen bezüglich der Indikation zur Festsetzung eines Höchstbetrags kommen. In diesem Fall bietet das Konzept der Effizienzgrenze keine Grundlage für die Entscheidungsfindung.

Auffällig ist, dass die in der KNB spezifizierten allgemeinen Anforderungen an die Nutzenbewertung die Forderung einer präferenzbasierten Nutzenbestimmung nicht beinhalten. Aus gesundheitsökonomischer Sicht ist es jedoch gerade auch die Eigenschaft der Präferenzbasierung, die für den Einsatz der in der gesundheitsökonomischen Methodenforschung entwickelten Instrumente der Nutzenmessung spricht.

#### 2.4.3 Indikationsspezifische versus indikationsübergreifende Nutzenmaße

Das IQWiG verfolgt einen methodischen Ansatz, „der auf einen Vergleich der Effizienz von Behandlungsmethoden in einem gegebenen Therapiebereich abzielt, ohne die umfassende Frage einer Priorisierung innerhalb des gesamten Gesundheitssystems zu beantworten“ (*IQWiG 2008c, S. VI*). Begründet wird dieser Ansatz damit, dass die GKV keiner nationalen Budgetierung unterliege und die gesundheitsökonomische Bewertung demzufolge weder eine Festlegung von Prioritäten für die Mittelverwendung über das gesamte Gesundheitssystem hinweg beinhalte noch die damit verbundenen Trade-offs bezüglich des Ressourcenverbrauchs berücksichtigen müsse (*IQWiG 2008c, S.V f.*). Daher könne auf eine indikationsübergreifende Messung und Bewertung

der Gesundheitseffekte verzichtet werden, die „unweigerlich Werturteile über den Stellenwert der Krankheiten untereinander sowie über den relativen Nutzen“ (IQWiG 2008c, S.VI) beinhalte und für die es keine allgemein akzeptierte Methode gebe.

Diese Argumente können nicht überzeugen. Die Höchstbetragsregelung wäre sinnlos, wenn es dem Gesetzgeber nicht auf die mit der Mittelverwendung im Gesundheitswesen verbundenen Trade-offs ankäme. Auch können durch den Einsatz indikationspezifischer Messinstrumente Werturteile über den relativen Nutzen des Ressourceneinsatzes bei der Behandlung unterschiedlicher Krankheiten nicht vermieden werden – sie sind allenfalls schwerer zu erkennen. Gleichwohl soll nicht in Abrede gestellt werden, dass die gesetzlichen Bestimmungen die Verwendung indikationsübergreifender Instrumente nicht erforderlich machen. Sie schließen ihren Einsatz aber auch nicht aus, und dieser erscheint unter den Aspekten von Transparenz und Entscheidungskonsistenz ausgesprochen wünschenswert.

Schließlich stellt sich das Problem der Zusammenfassung multipler Endpunkte zu einem aggregierten Nutzenindex bei indikationsübergreifender und indikationsspezifischer Betrachtung in gleicher Weise. Das IQWiG hofft offenbar, dass klinische und methodische Experten, sind sie erst „befreit von der Notwendigkeit, ein universelles Nutzenmaß zu etablieren“ (IQWiG 2008h, S.22), schon bald indikationsspezifische Messinstrumente in der erforderlichen Vielfalt bereitstellen werden, die den präferenzbasierten generischen Instrumenten in ihrer Eignung zur umfassenden Messung aller relevanten gesundheitlichen Auswirkungen medizinischer Technologien überlegen sind. Betrachtet man den enormen Aufwand, der bislang in die Entwicklung der indikationsübergreifenden Instrumente investiert worden ist, erscheint fraglich, worauf das IQWiG seinen Optimismus stützt.

## 2.5 Kosten

Die Ausführungen der KNB 1.0 zur Kostenbestimmung sind in den Stellungnahmen Gegenstand vielfältiger Kritik gewesen. Der generelle Einwand, die methodischen Vorgaben seien nicht detailliert genug, um eine hinreichend standardisierte und damit bewertungsübergreifend vergleichbare Kostenbewertung sicherzustellen, hat sich mit der Vorlage eines technischen Anhangs zur Kostenbestimmung in Teilen erledigt. Wie schon erörtert, nimmt der Anhang aber unverständlicherweise die Aussagen der KNB 1.1 zur Perspektive der Kostenbestimmung nicht auf, sodass insoweit eine tiefgreifende Inkonsistenz zwischen Hauptdokument und technischem Anhang besteht. Weitere Inkonsistenzen lassen sich auch zu methodischen Details der Kostenbestimmung finden: Wird etwa im Hauptdokument vorgeschlagen, die während der gewonnenen Lebenszeit anfallenden Krankheitskosten sollten „in einer vollkommen separaten Analyse erfasst werden, da hier unterschiedliche Fragestellungen vor-

liegen“ (IQWiG 2008c, S.62), so plädiert der technische Anhang für eine Einbeziehung dieser Kosten, soweit es sich um Behandlungskosten der Zielerkrankung handelt (IQWiG 2008d, S.15).

Das zweite Kernproblem der Ausführungen zur Kostenbestimmung betrifft den Zeithorizont der Analyse. Trotz einhelliger Kritik in einer Vielzahl von Stellungnahmen enthält auch die KNB 1.1 weiterhin die Aussage, dass der Zeithorizont für die Kostenanalyse unter Umständen länger sein könne oder gar müsse als der Zeithorizont für die Nutzenbewertung (IQWiG 2008c, S.35 f.). Es muss daher erneut betont werden, dass die Interpretation zeitlich nachgelagerten Ressourcenverbrauchs als Input in die Produktion zeitlich vorausgehender Gesundheitsergebnisse aus ökonomischer Sicht sachwidrig ist, und dass die Wahl unterschiedlicher Zeithorizonte für Kosten und Nutzen daher in aller Regel zu invaliden Evaluationsergebnissen führt.

## 3 Fazit

Unabhängig von den Ergebnissen der derzeit laufenden Machbarkeitsstudien kann auch die revidierte Fassung der KNB nicht als umsetzungsreifer Methodenvorschlag betrachtet werden. Es zeigt sich, dass das primäre Ziel des Methodenvorschlags, allein aus Informationen über Nutzen und Kosten von existierenden Therapieoptionen wissenschaftlich begründete Empfehlungen zur Festsetzung von Höchstbeträgen für Arzneimittel an die politischen Entscheidungsträger abzuleiten, nicht erreicht worden ist. Einmal mehr wird deutlich, dass solche Empfehlungen ohne explizite Bewertungsvorgaben durch die demokratisch legitimierten und politisch verantwortlichen Entscheidungsgremien nicht zu gewinnen sind. Dieser Befund ruft nicht nur nach einer weiteren Revision des Methodenvorschlags, sondern auch nach einer Adjustierung der Aufgaben, die der Gesetzgeber dem IQWiG bei der Kosten-Nutzen-Bewertung von Arzneimitteln zugewiesen hat.

Auch im Sinne einer Methodik der Kosten-Nutzen-Bewertung weist die KNB 1.1 große Unzulänglichkeiten auf. Für die Aggregation aller relevanten gesundheitlichen Nutzenaspekte in einem kardinalen Nutzenindex werden keine Methodenempfehlungen ausgesprochen; diese fehlen ebenso für die eingeforderte Transformation gemessener in bewertete Gesundheitseffekte. Da das IQWiG gleichzeitig der präferenzbasierten Gesundheitsmessung und dem QALY-Konzept skeptisch gegenübersteht, bleibt offen, wie die Kernfrage der Nutzenbewertung in der gesundheitsökonomischen Evaluation praktisch angegangen werden soll. Zur Evaluationsperspektive enthält der Methodenvorschlag im Hauptdokument und im technischen Anhang zur Kostenbestimmung Ausführungen, die nicht miteinander vereinbar sind. Zudem hält es das IQWiG in seinem Methodenvorschlag für zulässig, in der

Evaluation für Kosten und Nutzen unterschiedlich lange Zeithorizonte anzusetzen. Zusammenfassend muss festgehalten werden, dass auch die überarbeitete Kosten-Nutzen-Bewertung (KNB 1.1) zu zentralen Punkten der ökonomischen Evaluationsmethodik teils keine, teils widersprüchliche und aus ökonomischer Sicht auch teils inakzeptable Empfehlungen enthält. Der Methodenvorschlag des IQWiG schafft daher in seiner vorliegenden Form weder die nötige Klarheit noch bietet er die erforderlichen Handlungsanleitungen für die Durchführung von Kosten-Nutzen-Bewertungen neuer Medizintechnologien.

## Literatur

- Bekkering T, Kleijnen J (2008):** Verfahrensweisen und Methoden zur Nutzenbewertung von Arzneimitteln in Deutschland. Gutachten im Auftrag des Verbands forschender Arzneimittelhersteller (VfA)
- Drummond M, Rutten F (2008):** New guidelines for economic evaluation in Germany and the United Kingdom. OHE Briefing Nr. 46, London: Office of Health Economics, 1–16
- Greiner W (2007):** Die Rolle der Pharmakoökonomie zur Ressourcenallokation im Gesundheitswesen – Überblick und Implikationen für Deutschland. Gesundheitsökonomie und Qualitätsmanagement im Gesundheitswesen, Band 12, 51–56
- IQWiG (2008a):** Methodik für die Bewertung von Verhältnissen zwischen Nutzen und Kosten im System der deutschen gesetzlichen Krankenversicherung. Zur Stellungnahme. Version 1.0 vom 24. Januar 2008. Köln: IQWiG; [www.iqwig.de](http://www.iqwig.de) → Methoden & Werkzeuge → Kosten-Nutzen-Bewertung → Methoden → Frühere Versionen: Methodik für die Bewertung von Verhältnissen zwischen Nutzen und Kosten im System der deutschen gesetzlichen Krankenversicherung – Version 1.0
- IQWiG (2008b):** Allgemeine Methoden. Version 3.0 vom 27. Mai 2008; [www.iqwig.de](http://www.iqwig.de) → Methoden & Werkzeuge → Allgemeine Methoden → „Allgemeine Methoden 3.0“
- IQWiG (2008c):** Methodik für die Bewertung von Verhältnissen zwischen Nutzen und Kosten im System der deutschen gesetzlichen Krankenversicherung. Version 1.1 vom 09. Oktober 2008. Köln: IQWiG; [www.iqwig.de](http://www.iqwig.de) → Methoden & Werkzeuge → Kosten-Nutzen-Bewertung → Methoden → Aktuelle Dokumente: Methodik für die Bewertung von Verhältnissen zwischen Nutzen und Kosten im System der deutschen gesetzlichen Krankenversicherung – Version 1.1
- IQWiG (2008d):** Technischer Anhang Kostenbestimmung Version 1.0 vom 09.10.2008; [www.iqwig.de](http://www.iqwig.de) → Methoden & Werkzeuge → Kosten-Nutzen-Bewertung → Methoden → Aktuelle Dokumente → Technische Anhänge: Kostenbestimmung
- IQWiG (2008e):** Technischer Anhang Modellierung Version 1.0 vom 09.10.2008; [www.iqwig.de](http://www.iqwig.de) → Methoden & Werkzeuge → Kosten-Nutzen-Bewertung → Methoden → Aktuelle Dokumente → Technische Anhänge: Modellierung
- IQWiG (2008f):** Technischer Anhang Unsicherheit Version 1.0 vom 09.10.2008; [www.iqwig.de](http://www.iqwig.de) → Methoden & Werkzeuge → Kosten-Nutzen-Bewertung → Methoden → Aktuelle Dokumente → Technische Anhänge: Unsicherheit
- IQWiG (2008g):** Anhang: Dokumentation der Stellungnahmen zur „Methodik für die Bewertung von Verhältnissen zwischen Nutzen und Kosten im System der deutschen gesetzlichen Krankenversicherung Version 1.0“. Köln: IQWiG; [www.iqwig.de](http://www.iqwig.de) → Methoden & Werkzeuge → Kosten-Nutzen-Bewertung → Methoden → Aktuelle Dokumente: Anhang: Dokumentation der Stellungnahmen zu Version 1.0
- IQWiG (2008h):** Würdigung der Stellungnahmen zur „Methodik für die Bewertung von Verhältnissen zwischen Nutzen und Kosten im System der deutschen gesetzlichen Krankenversicherung Version 1.0“. Köln: IQWiG; [www.iqwig.de](http://www.iqwig.de) → Methoden & Werkzeuge → Kosten-Nutzen-Bewertung → Methoden → Aktuelle Dokumente: Würdigung der Stellungnahmen zu Version 1.0
- Krauth C, John J, Aidelsburger P et al. (2008):** Stellungnahme der AG Methoden der gesundheitsökonomischen Evaluation (AG MEG) zu dem Methodenpapier „Methodik für die Bewertung von Verhältnissen zwischen Nutzen und Kosten im System der deutschen gesetzlichen Krankenversicherung“ des Instituts für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG). Das Gesundheitswesen 70, e1–e16
- Niebuhr D, Rothgang H, Wasem J, Greß S (2004):** Die Bestimmung des Leistungskatalogs in der gesetzlichen Krankenversicherung, Band 2. Düsseldorf: Hans Böckler Stiftung
- Zentner A, Busse R (2006):** Internationale Standards der Kosten-Nutzen-Bewertung. Gesundheitsökonomie und Qualitätsmanagement im Gesundheitswesen, Band 11, 368–373

## DER AUTOR



### Dr. Jürgen John,

Leiter der Arbeitsgruppe Gesundheitssystemanalyse des Instituts für Gesundheitsökonomie und Management im Gesundheitswesen des Helmholtz Zentrums München – Deutsches Forschungszentrum für Gesundheit und Umwelt sowie Lehrbeauftragter für Gesundheitssystemforschung und für Gesundheitsökonomie an der Medizinischen Fakultät der Ludwig-Maxi-

milians-Universität (LMU) München. Nach Studium der Volkswirtschaftslehre in Heidelberg und Promotion an der LMU als wissenschaftlicher Assistent an der LMU und als Mitarbeiter am Institut für Medizinische Informatik und Systemforschung des GSF-Forschungszentrums für Umwelt und Gesundheit, Neuherberg, tätig. Arbeitsschwerpunkte: Gesundheitsökonomische Evaluation, Krankheitskostenstudien, Versorgungsforschung.