

Nutzenbewertung für innovative Hochrisiko NUBs: Eine Bestandsaufnahme

Stefan Walzer^{1,2}, Jan Helfrich³, Björn Schwander⁴, Oliver Martini⁵,
Helge Schumacher⁶, Daniel Dröschel^{1,7}

¹MArS Market Access & Pricing Strategy GmbH, Weil am Rhein; ²Duale Hochschule Baden-Württemberg, Lörrach; ³DAK Gesundheit, Hamburg; ⁴AHEAD GmbH, Lörrach; ⁵Johnson&Johnson Medical GmbH, Norderstedt; ⁶Diakovere Krankenhaus gGmbH, Hannover; ⁷Fernuniversität Riedlingen, Riedlingen,

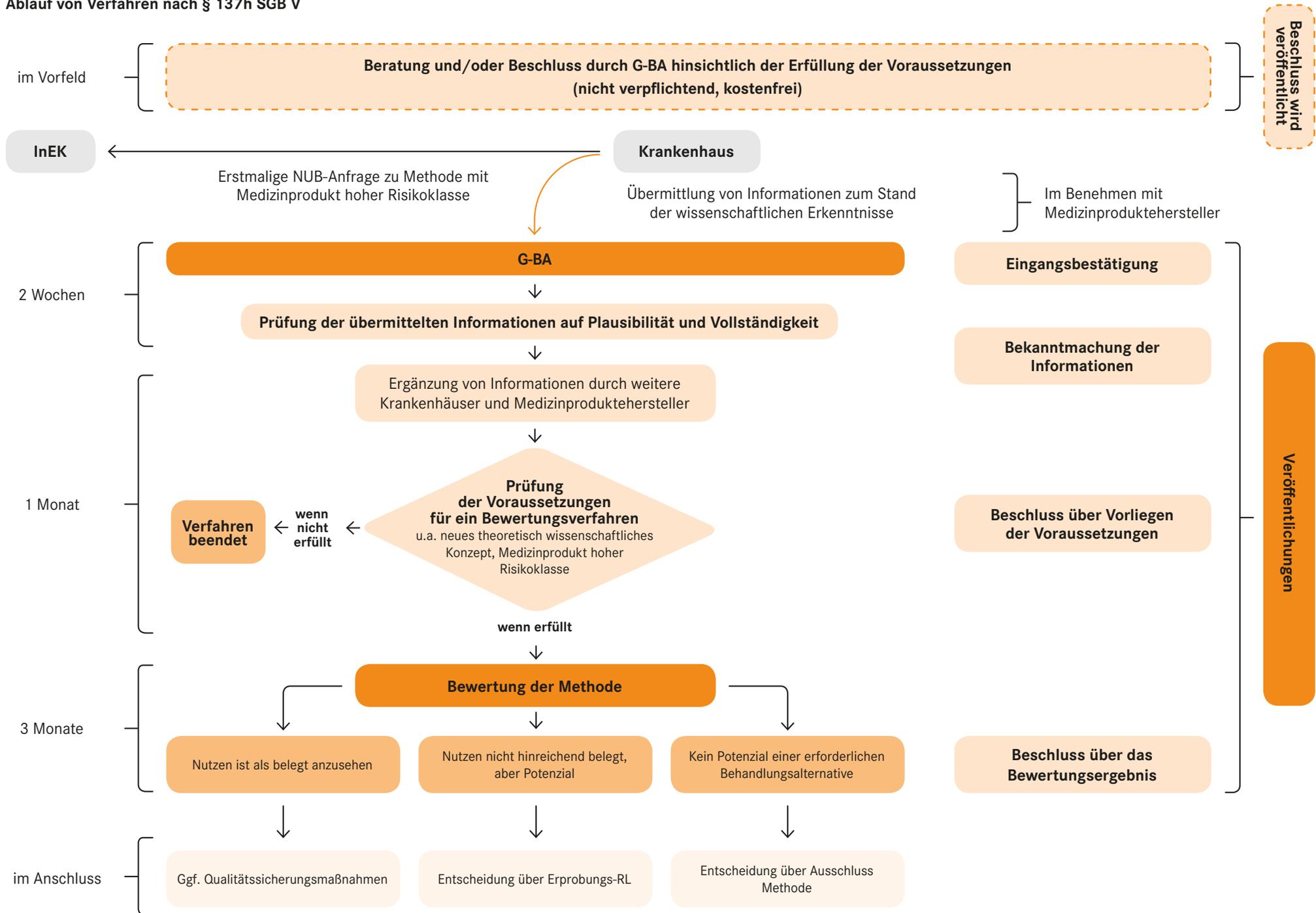
DGGÖ – Deutsche Gesellschaft für
Gesundheitsökonomie – Jahrestagung, Basel 2017

Hintergrund



- Nutzenbewertungen im Bereich des (ambulanten) pharmazeutischen Marktzugangs werden in den meisten Ländern regelhaft durchgeführt und in Preisverhandlungen genutzt.
- Im Bereich der nicht-medikamentöser Verfahren geschieht dies bisher in Deutschland nur im ambulanten Bereich.
- GKV-Versorgungsstärkungsgesetz (GKV-VSG, §137h) kann für stationäre Innovationen mit Medizinprodukten mit besonders invasivem Charakter im Bereich der NUB-Anträge eine Änderung bedeuten
 - Bewertung durch den G-BA innerhalb von 3 Monaten
 - Nutzen hinreichend belegt
 - Nutzen noch nicht hinreichend belegt, aber Potential einer erforderlichen Behandlungsalternative
 - kein Potential

Ablauf von Verfahren nach § 137h SGB V



Operationalisierung des Potentialbegriffs



Studienphase	Erkenntnis	erlaubt Aussage zu
1. Labor- und Tierversuche, Prototypen usw.	Idee → Entwicklung	
2a. <i>first in man</i> , kleine Patientengruppe (ca. 15-30), ohne Kontrollgruppe (Fallserie)	Sicherheit, Dosis, Funktion der Prozedur	<i>„aussagekräftige Unterlagen (...) aus denen hervorgeht, dass die Methode hinreichendes Potenzial für eine Erprobung bietet“</i>
2b. größere Anzahl von Patienten (ca. 30-300), mit oder ohne Kontrollgruppe, inkl. RCTs	Wirksamkeit, Nebenwirkungen, Anforderungen an Qualität, Machbarkeit, Akzeptanz, Vorbereitung für Nutzenstudie	
3. RCT, ausreichend große Patientengruppe (bis zu mehrere 1000), Vergleich mit Standardintervention	Nutzen, ggf. Nichtunterlegenheit, Nebenwirkungen	<i>„Potenzial einer erforderlichen Behandlungs-alternative“</i>
4. Beobachtung, Meldungen, ggf. Registerdaten	Langzeiteffekte, Nebenwirkungen	

Quelle: Perleth DGGÖ Ausschlußpräsentation 2016

Welche Potentiale wurden bisher anerkannt?



- vergleichende Studien mit Surrogatendpunkteffekten
- indirekter Vergleich von Fallserien mit Unterschied
- RCT-Pilotstudie mit versprechenden Kurzzeitergebnissen
- Neue weniger invasive Therapie bei ähnlichem Nutzen
- Diagnostischer Test mit offenkundig hoher Testgüte

Erprobungsregelung



- Antragstellung bzw. Beratung praktisch seit 2013 möglich
- bisher 18 Beschlüsse veröffentlicht
 - <https://www.g-ba.de/informationen/beschluesse/zum-aufgabenbereich/57/sortiert-nach/inkrafttreten/absteigend/>
 - mehrere Verfahren verzögert bzw. eingestellt (u.a. wg. Produktwechsel der Firma und Finanzierung, Überführung in Nutzenbewertung)
- Beratungen:
 - 30% aller Beratungsanfragenden haben in Folge einen Erprobungsantrag gestellt
 - 42% aller Erprobungsanträge waren vorab zur Beratung im G-BA
- Probleme: Finanzierung; Zeitdauer des Verfahrens, komplexe Antragsstellung; Zugang aus 137c problematisch
- **Bilanz: noch keine Erprobung begonnen (!)**

Bisherige Beratungen nach §137h GSK-VSG



Intervention

- Arterialisierung tiefer Venen, endovaskulär, minimal-invasiv (pAVK)
- Cerliponase alfa zur Enzymersatztherapie
- Elektrostimulation des peripheren Nervensystems durch ein teilimplantierbares Neurostimulationssystem

Beschluss

- Beschlussfassung wird vorbereitet
- Fällt nicht unter §137h (keine Hochrisikoprozedur)
- Fällt nicht unter §137h (kein neues wissenschaftliches Konzept)

Bisherige Beratungen nach §137h GSK-VSG



Intervention

- Gezielte Lungendeneravierung
- Transzervikale Radiofrequenzablation mit intrauteriner Ultraschallführung
- Vena-Cava-Filter, gekoppelt mit zentralem Venenkatheter

Beschluss

- Nutzenverfahren begonnen, deshalb Einstellung der Beratung
- Stellungnahmeverfahren eingeleitet
- Beschlussfassung in Vorbereitung

Nutzenbewertungen im Rahmen NUB 2016/17



Intervention

- Gezielte Lungendeneravierung
- Rekonstruktion, linksventrikulär, minimal-invasiv
- Ultraschall, hoch-intensiv fokussiert, ultraschallgesteuert

Stand des Verfahrens

- G-BA führt Bewertung durch (Ende: Mitte März 2017)
- Ohne Bewertung abgeschlossen (keine erstmalige NUB Beantragung)
- Erprobungsrichtlinie

Fazit NUB Nutzenbewertung 2016/17



- Lediglich für zwei Verfahren wird eine Nutzenbewertung beim G-BA durchgeführt
 - Gezielte Lungendenergieerzeugung: erwartetes Ende des Verfahrens Mitte März 2017
 - Verfahren zu hoch-intensiver fokussierter, ultraschallgesteuertem Ultraschall: Erprobungsrichtlinie in Erstellung
- Bisherige Beratungsverfahren bestätigen die sehr kleine Anzahl an Verfahren mit einer möglichen Nutzenbewertung nach §137h

Mögliche Probleme der Nutzenbewertung



- Momentan verfügbare Methoden zur Bewertung von klinischen Therapieoptionen können grundsätzlich angewandt werden.
- Allerdings könnte dabei auf einen erhöhten Verzerrungsaspekt in den Studienergebnissen geschlossen werden, nur durch die Besonderheiten dieser Interventionen. Nach der Methodensystematik des IQWiG wäre es lediglich ein Hinweis auf einen Zusatznutzen.
- Wichtiger Aspekt in der Festlegung der zeitlichen Planung bei der Involvierung von Medizinprodukten innerhalb dieser Interventionen: Signifikant kürzere Lebenszyklen durch weitgehend fehlenden Patentschutz (!)

Geschätzter Einfluss wichtiger Parameter auf die Nutzenbewertung



	Medizinprodukte	Arzneimittel
Verblindung	auf Bewerterebene durchführbar auf Patientenebene i.d.R. nicht durchführbar – (signifikanter) Einfluss	i.d.R. durchführbar – kein Einfluss
Randomisierung	i.d.R. durchführbar – kein Einfluss	i.d.R. durchführbar – kein Einfluss
Lerneffekte	Signifikanter Einfluss	Kein Einfluss
Erfahrung des Nutzer (bspw. Operateur)	Signifikanter Einfluss	Vernachlässigbarer Einfluss
Mengeneffekte	Signifikanter Einfluss	Kein Einfluss
Umfeldeinfluss (bspw. Temperatur, Hygiene)	Kann signifikanten Einfluss haben	Geringer Einfluss



Fazit



- Erste Erfahrungen mit §137h GKV-VSG wurden gesammelt. Die Mehrheit der NUB Anträge waren davon nicht betroffen.
- Nutzenbewertungen mit den momentan verfügbaren Methoden sind grundsätzlich möglich unter Beachtung der interventionsspezifischen Besonderheiten.
- Lernendes System im Rahmen der Erprobungsregelung nicht zu erkennen.
 - Regelung seit 5 Jahren: Noch kein Verfahren gestartet (!)
 - Wie soll dies nun im Rahmen der NUB Nutzenbewertung effektiv und effizient eingeführt und angewandt werden?

Nutzenbewertung für innovative Hochrisiko NUBs: Eine Bestandsaufnahme

Stefan Walzer^{1,2}, Jan Helfrich³, Björn Schwander⁴, Oliver Martini⁵,
Helge Schumacher⁶, Daniel Dröschel^{1,7}

¹MArS Market Access & Pricing Strategy GmbH, Weil am Rhein; ²Duale Hochschule Baden-Württemberg, Lörrach; ³DAK Gesundheit, Hamburg; ⁴AHEAD GmbH, Lörrach; ⁵Johnson&Johnson Medical GmbH, Norderstedt; ⁶Diakovere Krankenhaus gGmbH, Hannover; ⁷Fernuniversität Riedlingen, Riedlingen,

DGGÖ – Deutsche Gesellschaft für
Gesundheitsökonomie – Jahrestagung, Basel 2017