



## **Berücksichtigung von Qualitätskriterien ... ... bei der Nutzenbewertung von Verfahren oder Medikamenten**

Jürgen Windeler



**Der Nutzen (*benefit*) einer Maßnahme bzw. Leistung im Gesundheitswesen sollte sich ... auf die Verbesserung des Gesundheitsstatus eines Individuums oder einer Bezugsgruppe bzw. die Verbesserung von Länge oder Qualität des Lebens des/der Betroffenen beziehen**

**Sachverständigenrat für die Konzertierte Aktion im Gesundheitswesen.  
Band III Über-, Unter- und Fehlversorgung**

## Für wen ?

Für die Bewertung des medizinischen Nutzens (in Deutschland) ist ausschließlich (oder ganz prioritär) die Perspektive des Betroffenen einzunehmen,

und **nicht** die  
des Systems  
der Gesellschaft  
der Angehörigen  
der Eltern  
der Anwender  
der Kassen

Also: „Was hat der Patient davon ?“

**„Medizinischer Nutzen“ (besser: gesundheitlicher Nutzen)**

**positive medizinische**

**Effekte einer Intervention**

**im Sinne einer**

**Verbesserung des Krankheitsverlaufs, der Symptomatik oder  
Lebensqualität von Patienten**

**in mehr als geringfügigem Ausmaß**

„Medizinischer Nutzen“:

positive medizinische

Effekte einer Intervention

im Sinne einer  
Verbesserung des Krankheits-  
Lebensqualität von Patienten  
in mehr als geringfügiger

**"The effect of any treatment for a given patient is the difference between what happened to the patient as a result of giving him the treatment and what would have happened had treatment been denied."**

Senn

Stephen

# JEDE

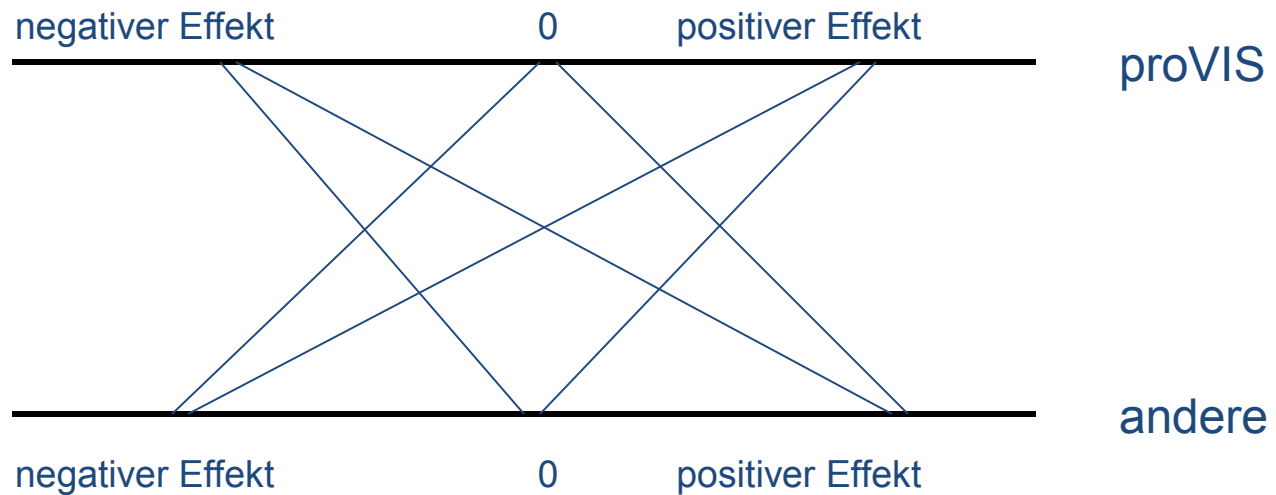
**Nutzendefinition führt zu methodischen Vorgehensweisen zur Erfassung / Bewertung des Nutzens**

**hier:**

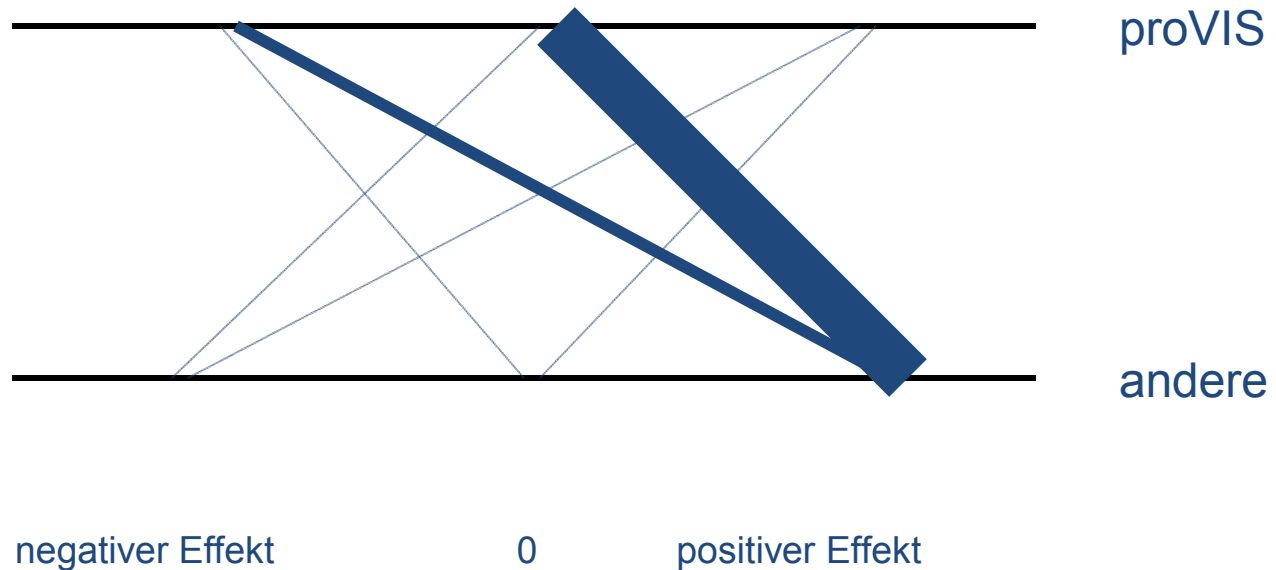
**wegen der Kausalitätsanforderung zu einem Primat für randomisierte, kontrollierte Studien (oder eigentlich besser: prospektiv geplante vergleichende Interventionsstudien mit gesicherter Strukturgleichheit – proVIS)**

„Bei seltenen Erkrankungen, bei Methoden ohne vorhandene Alternative oder aus anderen Gründen kann es unmöglich oder unangemessen sein, Studien dieser Evidenzstufe durchzuführen oder zu fordern.“ (VO des G-BA)

## Ergebnisse von proVIS und nicht-proVIS unterscheiden sich ...



**... so !**  
**(sonst würde kein Verfechter eines Verfahrens gegen proVIS argumentieren)**



**Widersinn: Fehler werden zum Vorteil deklariert**



**zur Zeit hoch relevantes praktisches Problem:**

**nicht-randomisierte Studien sind in der Realität  
methodisch viel schlechter  
als sie sein dürften  
als sie sein müssten**

**These:**

**Dies ist eine Frage des Aufwands (und der Unkenntnis).**

**Die prospektiv geplante vergleichende Interventionsstudie (proVIS) mit angemessener Sicherung der Strukturgleichheit ist von zentraler Bedeutung in der Nutzenbewertung.**

**Nicht zu randomisieren bedeutet**

**einen höheren Aufwand**

**fehlerträchtigere Ergebnisse**

**d.h. höherer Aufwand mit höherem Risiko !**

**eine schlechtere Akzeptanz**

**Nicht zu randomisieren, wenn man könnte, ist also mindestens**

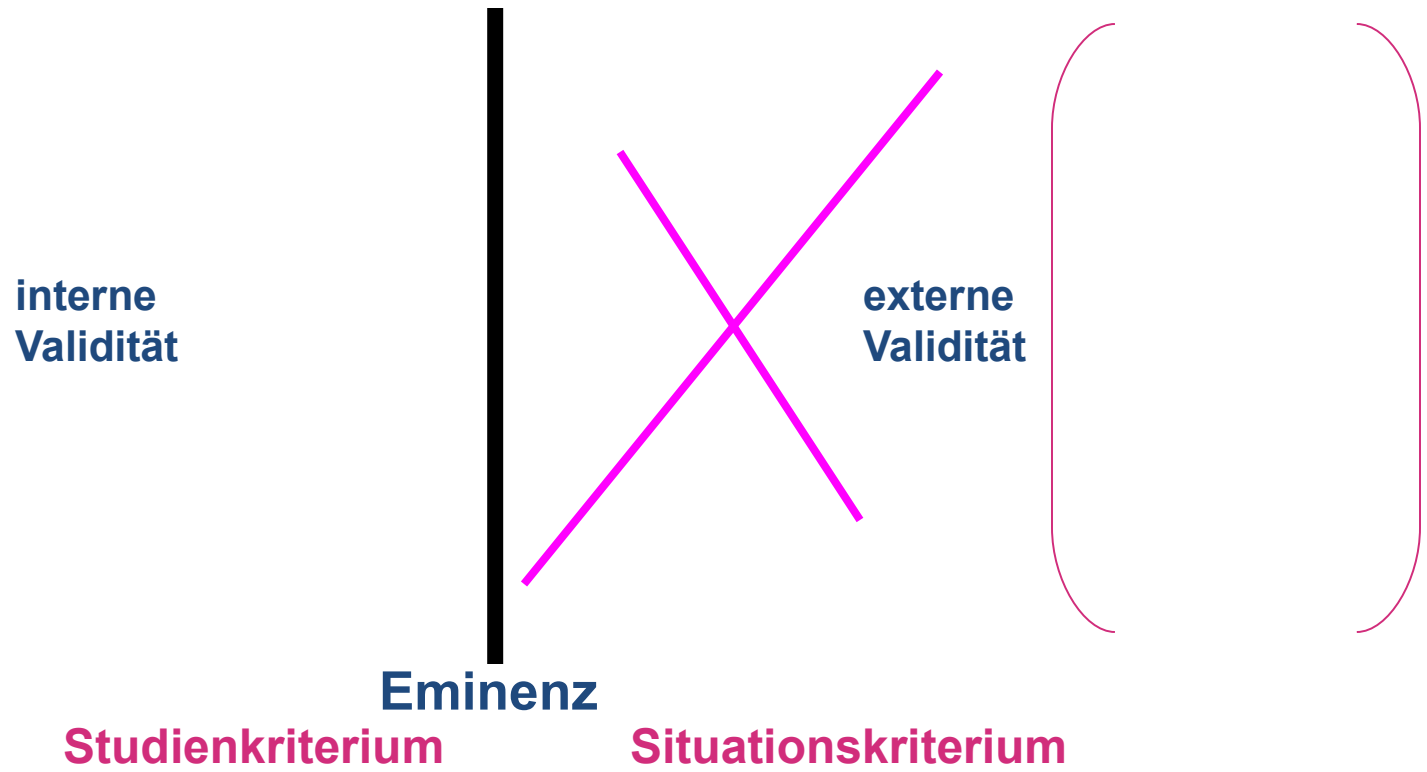
**sehr unklug.**

## „Wirksamkeit im Alltag“

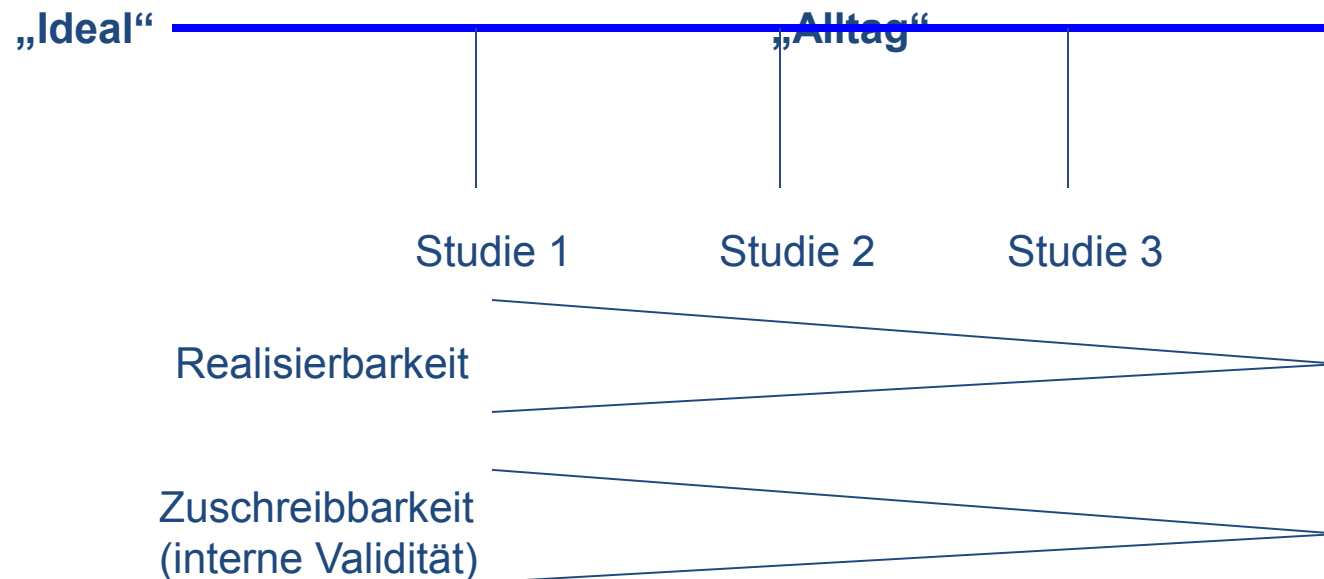
**abstrakte Diskussion, da kein Kriterium existiert, um eine einzelne Studie zuverlässig als „efficacy“-Studie oder „effectiveness“-Studie einzuordnen.**

Zudem ist die oft gehörte Zuordnung  
effectiveness  Beobachtungsstudie  
oder  
Beobachtungsstudie  effectiveness  
**falsch**

## Evidenzhierarchie RCT



**„Ideale“ und „Alltags“studien sind Konstrukte. Es gibt sie in der Realität nicht.**



**Kernfrage: Welche Kompromisse soll / darf man bzgl. der internen Validität zugunsten der externen Validität machen ?**

## externe Validität

lohnt sich nur, auf der Basis methodisch sorgfältiger  
(intern valider) Studien zu diskutieren (proVIS)

ist die Frage nach einer „Effektmodifikation“:

Also nicht: Sind die Patienten anders, sondern: ist der  
Therapie**Effekt** in einer anderen Population anders  
bzgl. Nutzen und / oder Schaden

**Achtung: Nicht Bias !**

**Achtung: Nicht = Übertragbarkeit**

**„Eine Leitlinien-gestützte und vornehmlich auf  
Endpunktstudien konzentrierte Arzneimitteltherapie  
führt zu einer Medizin, die dem Patienten  
Therapieoptionen vorenthält.“**

**Ist das ein Problem ?**

**„Eine Leitlinien-gestützte und vornehmlich auf  
Endpunktstudien konzentrierte Arzneimitteltherapie  
führt zu einer Medizin, die dem Patienten **moderne**  
Therapieoptionen vorenthält.“**

**Inwiefern ist dies ein Problem ?**



**„Eine Leitlinien-gestützte und vornehmlich auf  
Endpunktstudien konzentrierte Arzneimitteltherapie  
führt zu einer **Schmalspur**-medizin, die dem Patienten  
moderne Therapieoptionen vorenthält **und damit  
Qualitätsverluste vorprogrammiert.**“**

**Dies soll eine Nutzenbewertung gerade verhindern !**

**Der Test A erkennt die Krankheit B.**

**Der Test A erkennt die Krankheit B sehr zuverlässig.**

**Der Test A erkennt die Krankheit B zuverlässiger  
als der Test C**

**Was hat der Patient davon ?**

## PET BEI MALIGNEN LYMPHOMEN

# Überhöhte Anforderungen an die Evidenz?

Dtsch. Ärztebl. 108, 2011

A-320

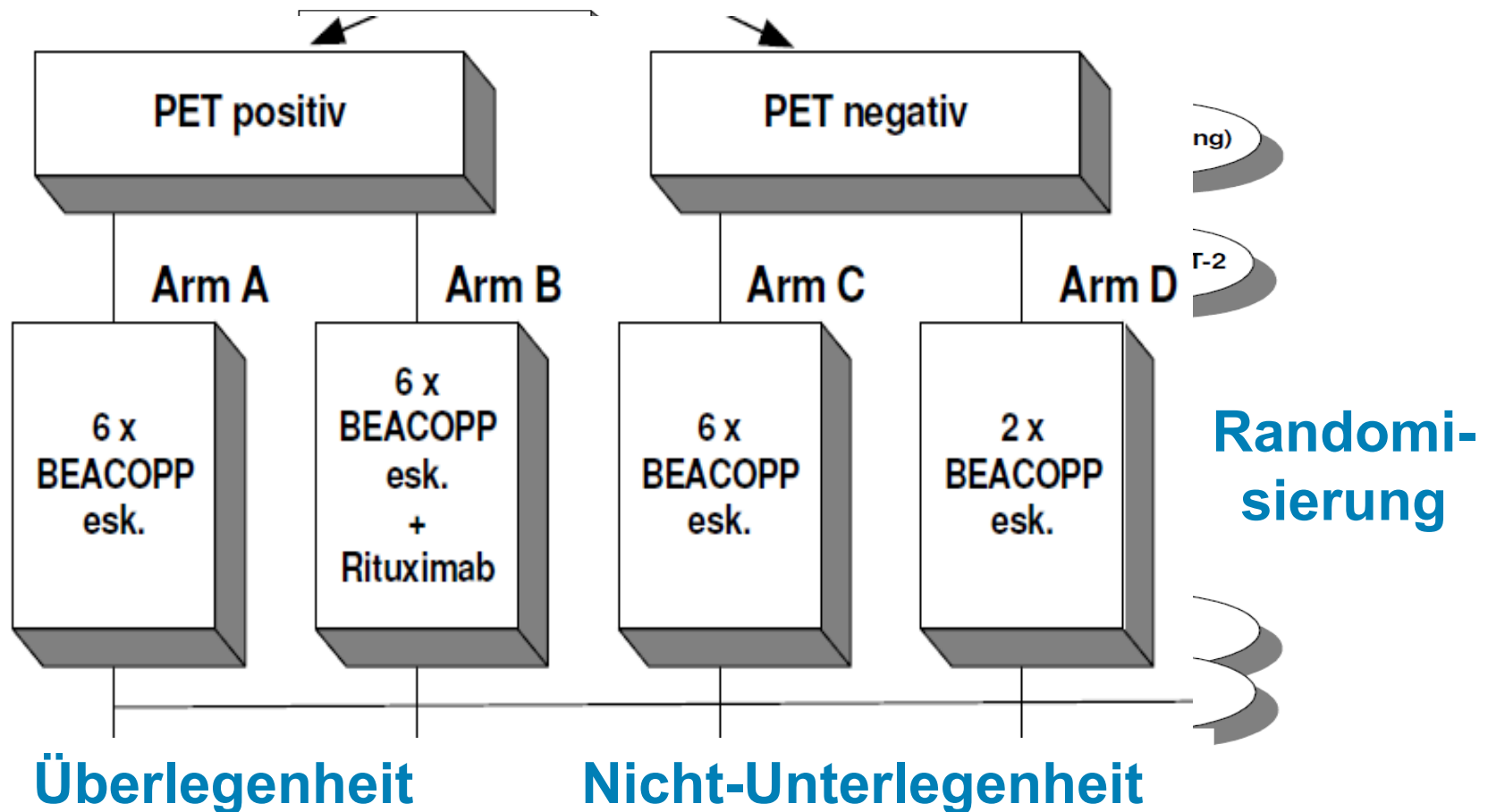
„... befürchten, dass zu hohe Anforderungen an die Evidenz  
Defizite in der Patientenversorgung verursachen könnten.“

„Ist eine Methode wie zum Beispiel die PET bei der Lymphomdiagnostik schon seit längerer Zeit etabliert, in zahlreichen Studien publiziert und Bestandteil nationaler und internationaler Leitlinien, **entspricht die Forderung nach der Durchführung weiterer RCT zum Nachweis eines patientenrelevanten Nutzens nicht mehr der Versorgungsrealität** und kann als Vehikel angesehen werden, um eine Methode zum Beispiel aufgrund abweichender ökonomischer Interessen nicht oder nicht mehr erstatten zu müssen..

# Internationaler Standard!

## GHSG, HD 18

Therapieoptimierungsstudie in der Primärtherapie  
des fortgeschrittenen Hodgkin Lymphoms: Therapiestratifizierung  
mittels FDG-PET



# Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG)

- Dillenburger Straße 27
- D-51105 Köln
- Telefon +49-221/3 56 85-0
- Telefax +49-221/3 56 85-1
- [info@iqwig.de](mailto:info@iqwig.de)
- [www.iqwig.de](http://www.iqwig.de)

