

## 6 Zusammenfassung und Diskussion

Die Ergänzung des § 137h SGB V durch das GKV-VSG zielt auf die Nutzenbewertung von NUB mit MP der Klasse IIb und III. Damit verändert sich die Betrachtung von Innovationen nachhaltig, wobei die Qualität und Wirtschaftlichkeit für die Kostenträger im Mittelpunkt stehen. Das Schadenspotenzial bestimmter MP wird jedoch als derart hoch erachtet, dass mit dem Argument der Sicherheit die Nutzenbewertung neu eingeführt wurde. Innovative MP können jedoch die Versorgung der Patienten erheblich verbessern. Steigerungen der Lebensqualität und Lebensdauer können die Folge sein. Im Sinne der Patienten gilt es, die Zeit und den Evidenzgrad über den gesamten Prozess der Zulassung und Erstattung gegeneinander abzuwägen. Zukünftig wird die Entscheidung über die Erstattungsfähigkeit durch hohe Anforderungen an die Dokumentation von Nutzen und Schaden gekennzeichnet sein. Der schnelle und flächendeckende Zugang von Patienten zu Innovationen wird nicht in gleichem Maße gefördert. Spezifische klinische Handlungsfelder könnten zunehmend langsamer von innovativen MP profitieren.

Die Ausführungen haben gezeigt, dass adaptive Studiendesigns, MCDA und die adaptive Nutzenbewertung im Zusammenspiel ein zukunftsfähiges Konzept für einen garantierten zeitkritischen Zugang von Patienten zu innovativen Behandlungsmethoden bei hoher Qualität und Sicherheit sein können.

### 6.1 Messen: Adaptive und alternative Studiendesigns

Zielsetzung des Einsatzes von Methoden mit MP ist die positive Beeinflussung des Behandlungsergebnisses. Evidenz hinsichtlich der Effekte von NUB mit

MP kann durch klinische Studien dokumentiert werden. RCT gelten als Standard, wobei Kritiker Probleme bei der Durchführung von Studien für MP anführen. Um den Herausforderungen der Durchführung von klinischen Studien mit sehr hohem Evidenzgrad zu begegnen, werden international verschiedene Ansätze beschrieben. Einer dieser Ansätze ist das adaptive Studiendesign, das die Komplexität heutiger Versorgungsprozesse berücksichtigt. Eine flexible Studiendurchführung eröffnet die Option, Studienergebnisse zu bestimmten Zeitpunkten im laufenden Forschungsprozess auszuwerten und das Studiendesign entsprechend anzupassen.

### 6.2 Bewertung: MCDA und Patientenpräferenzen

Kausal begründete Effekte aus der Phase des Messens können einen Nutzen oder Schaden für den Patienten darstellen. Die gemessenen klinischen Effekte sind jedoch vom resultierenden Patientennutzen zu unterscheiden. Für den Vergleich von mehreren Behandlungsalternativen ist es notwendig, dass ein eindimensionales Maß des Patientennutzens aus den gemessenen Effekten aggregiert werden kann. Das IQWiG Methodenpapier diskutiert die Einbeziehung von Patientenpräferenzen im Rahmen der Nutzenbewertung. Im Kontext der Bewertung von Nutzen und Schaden stellt sich den Patienten die Frage „Welche Risiken sind maximal zu akzeptieren, um einen bestimmten Nutzen zu erhalten?“. Auch für den individuellen Patienten ist die Frage „Wie hoch muss der Nutzen sein, damit ich das Risiko der Behandlung trage?“ von großer Bedeutung. Es geht also um die Frage, ob der erwartete Nutzen die Risiken der Behandlung kompensiert. Im Rahmen des klinischen und ökonomischen Entscheidungskalküls bleibt weitestgehend offen, wie die Interessen der Patienten systematisch in die Abwägung von Nutzen-Schaden integriert werden können.

Es wird eine kontinuierliche flexible Abwägung des Nutzens und Schadens im Versorgungsalltag benötigt, um weiterhin Unsicherheiten zu reduzieren und die Evidenzgrundlage fortwährend zu erhöhen.<sup>[96]</sup> Für Entscheidungsgremien könnten Methoden der multikriteriellen Entscheidungsanalyse und der Präferenzmessung einen systematischen Ansatz darstellen. Zielsetzung ist die Quantifizierung der Teilnutzen, welche die Patienten den erwünschten und unerwünschten Effekten der medizinischen Interventionen zuordnen. Diese relativen Gewichtungen könnten genutzt werden, um die für Patienten akzeptablen Abwägungen von Nutzen und Schaden zu bestimmen. Diese Information könnten den Regulierungsbehörden bei der Bewertung gegenwärtiger und zukünftiger Interventionen helfen, die Patientenperspektiven zu berücksichtigen.<sup>[21]</sup> Das IQWiG nennt folglich Methoden der multikriteriellen Entscheidungsanalyse (dort MCDA) im aktuellen Methodenpapier 4.2 als eine Methode, wenn „ein Maß des Gesamtnutzens zum Vergleich von Interventionen erhoben werden soll“. Allen Ansätzen der MCDA ist gemein, dass der Pa-

tientennutzen (Gesamtnutzen) als multidimensionales Konstrukt angesehen wird. Die entscheidungstheoretisch fundierte MCDA trägt dazu bei, einen komplexen Entscheidungsprozess zu strukturieren und systematisch Ergebnisse zu entwickeln.

### 6.3 Entscheiden: Adaptive Nutzenbewertung und bedingte Entscheidung

Entscheidungen über die Erstattungsfähigkeit von NUB mit neuem theoretisch-wissenschaftlichem Konzept und mit MP hoher Klassen im Rahmen von Zusatzentgelten nach § 6 Krankenhausentgeltgesetz werden gemäß des neuen § 137h SGB V künftig auf Basis der Informationen über den (Netto)Nutzen getroffen. Vor dem Hintergrund der zunehmenden Forderung nach einem schnellen Zugang zu innovativen Behandlungsmethoden und MP müssen Ansätze für einen sicheren und qualitativ hochwertigen, aber dennoch zeitnahen Zugang geschaffen werden. Die Optimierung und Beschleunigung des Zugangs zu einer NUB erfordert ein breites Konzept und eine verbesserte Interaktion zwischen den verschiedenen Stakeholdern.

Ein vielversprechender Ansatz für einen schnellen Zugang zu innovativen Behandlungsmethoden und MP sind die von der EMA proklamierten adaptiven Patientenfahre (adaptive pathways). Unter dem Begriff der adaptiven Pfade werden das Entwicklungsprogramm und die regulatorischen Prozesse neu strukturiert, um die frühzeitige Zulassung und Erstattung einer neuen Technologie für eine begrenzte Population, typischerweise mit einem hohen ungedeckten medizinischen Handlungsbedarf, auf der Grundlage von ersten klinischen Studien zu ermöglichen. Während dieser adaptiven Prozesse wird die Patientenpopulation, basierend auf den erhobenen Wirksamkeits- und Sicherheitsdaten, verbreitert oder beschränkt. Zudem wird die Erstattung entsprechend der Ergebnisse angepasst. Zukünftig sollte diskutiert werden, ob dieser Ansatz auch an die Voraussetzungen der Nutzenbewertung von NUB mit MP angepasst werden kann. Es sollte erprobt werden, inwiefern eine adaptive Nutzenbewertung über den gesamten Produktlebenszyklus einer Methode durchgeführt werden kann.

Neben dem adaptiven Design klinischer Studien besteht ein weiterer Lösungsansatz in der bedingten Zulassung und Erstattung. Auf europäischer Ebene hat die EMA erkannt, dass die bestehenden statischen Regulierungspfade den zukünftigen Anforderungen nicht gerecht werden. Dabei wird anerkannt, dass nicht für alle Entscheidungen und Bewertungen Daten aus RCT notwendig sind. Unter bestimmten Voraussetzungen würden Studientypen geringerer Evidenzklasse ausreichen. Dabei muss beim Prozess der adaptiven Pfade ein bestimmtes Sicherheitsniveau eines MP initial gewährleistet sein. Zukünftig sollten Pilotprojekte zum adaptiven Studiendesign die Relevanz für die Erstattungsentscheidungen von MP aufzeigen.