

«WZW und HTA»

**Wie steht es um die Kosten- / Nutzen-Beurteilung
in der Schweiz?**

Michael Schlander

Professor für Gesundheitsökonomie, Universität Heidelberg

Leiter der Division of Health Economics am Deutschen Krebsforschungszentrum (DKFZ)

Vorstand & Wiss. Leiter, Institute for Innovation & Valuation in Health Care (InnoVal^{HC})

Eingeladener Beitrag zum 6. Swiss Healthcare Day, Bern (Kurhaus), am 15. Januar 2020

Persönlicher Hintergrund

Michael Schlander

[Academia]

- Leiter der Division of Health Economics am DKFZ (seit 2017)
- Professor für Gesundheitsökonomie – Universität Heidelberg (seit 2017)
- Professor für Health Care & Innovation Management (2002-2016)
- Vorstand & Wiss. Leiter – InnoVal^{HC} / Wiesbaden (seit 2005)

[Beruflich]

- CEO – biopharmazeutische Industrie (D; 1999-2002)
- Director of Strategic Business Unit – biopharmazeutische Industrie (Byk Gulden; Johnson & Johnson; D, B, USA; 1993-1999)
- Klinische Forschung – Industrie (Sandoz AG; D, CH; 1987-1993)

[Academia]

- Exp. Hirnforschung & klin. Neurologie – Univ. Frankfurt (1982-1987)

[Studium]

- PhD (*Habilitation*) – Gesundheitsökonomie, Univ. Heidelberg (2007)
- Diplom – Health Economics, Stockholm School of Economics (2002)
- MBA (*Valedictorian*) – Management, City U of Seattle, Washington (1994)
- Dr. med. (*summa cum laude*) – Hirnforschung, Univ. Frankfurt (1985/87)

Übersicht

- A. Notwendigkeit von Grenzsetzungen
- B. Wirtschaftlichkeit als Kriterium
- C. Ziele und normativer Rahmen
 - i. Wirksamkeit
 - ii. Zweckmässigkeit
 - iii. Wirtschaftlichkeit
- D. Wege zur Konkretisierung
- E. Nutzen einer Konkretisierung

Die Notwendigkeit



«**Hand clapping for science**
is now inextricably
linked to hand wringing
over affordability.»

Peter B. Bach

(Memorial Sloan Kettering Cancer Center, New York, NY):

New Math on Drug Cost-Effectiveness.

New England Journal of Medicine 2015 (November 05); 373 (19): 1797-1799.

Die Notwendigkeit

«Hand Clapping for Science...»

Novartis's \$475,000 Price on Cancer Therapy Meets Resistance

By **John Lauerman** and **James Paton**
September 22, 2017, 10:22 AM GMT+2 Updated on September 22, 2017, 5:00 PM GMT

- Drug heralds new, costly class of curative treatments
- "We need a new payment model," Express Scripts official says

Bloomberg

NOVARTIS DRUG TO HERALD NEW ERA?

NOVARTIS 84.30 ▲1.88%

Chimeric Antigen Receptor Therapy in Haematology and Oncology: Current Successes and Challenges

Commercialization of cellular immunotherapies for cancer

Anthony Walker1 and Robert Johnson†**
*Alacritia LLP, 2 Royal College Street, London NW1 0NH, UK
†Alacritia LLC, Cambridge Innovation Center, Kendall Square, Cambridge MA 02142, USA

Die Notwendigkeit

«Hand Clapping for Science...»

Der Pharmakonzern Novartis bereitet die Öffentlichkeit auf einen Preisschock vor

Die erste millionenteure Gentherapie des Basler Medikamentenherstellers Novartis befindet sich in den USA kurz vor dem Zulassungsentscheid. Das Management der Firma versucht, durch intensive Lobbyarbeit um Verständnis zu werben. Dennoch droht ein Imageschaden.

Neue Zürcher Zeitung

Die Notwendigkeit

«Hand Clapping for Science...»

Neue Gentherapie von Novartis soll über 2 Millionen Dollar kosten

Der Pharmakonzern hat für die neuartige Gensatztherapie Zolgensma in den USA die Zulassung erhalten. Der Preis für eine einmalige Injektion wird Debatten auslösen.

Basler Zeitung

«Wir halten unseren Preis für angemessen und fair»

BaZ, 24. Mai 2019

Die Notwendigkeit

Outrageous prices of orphan drugs: a call for collaboration

Lucio Luzzatto, Hanna I Hyry*, Arrigo Schieppati, Enrico Costa, Steven Simoens, Franz Schaefer, Jonathan C P Roos, Giampaolo Merlini, Helena Kääriäinen, Silvio Garattini, Carla E Hollak, Giuseppe Remuzzi, on behalf of the Second Workshop on Orphan Drugs participants*



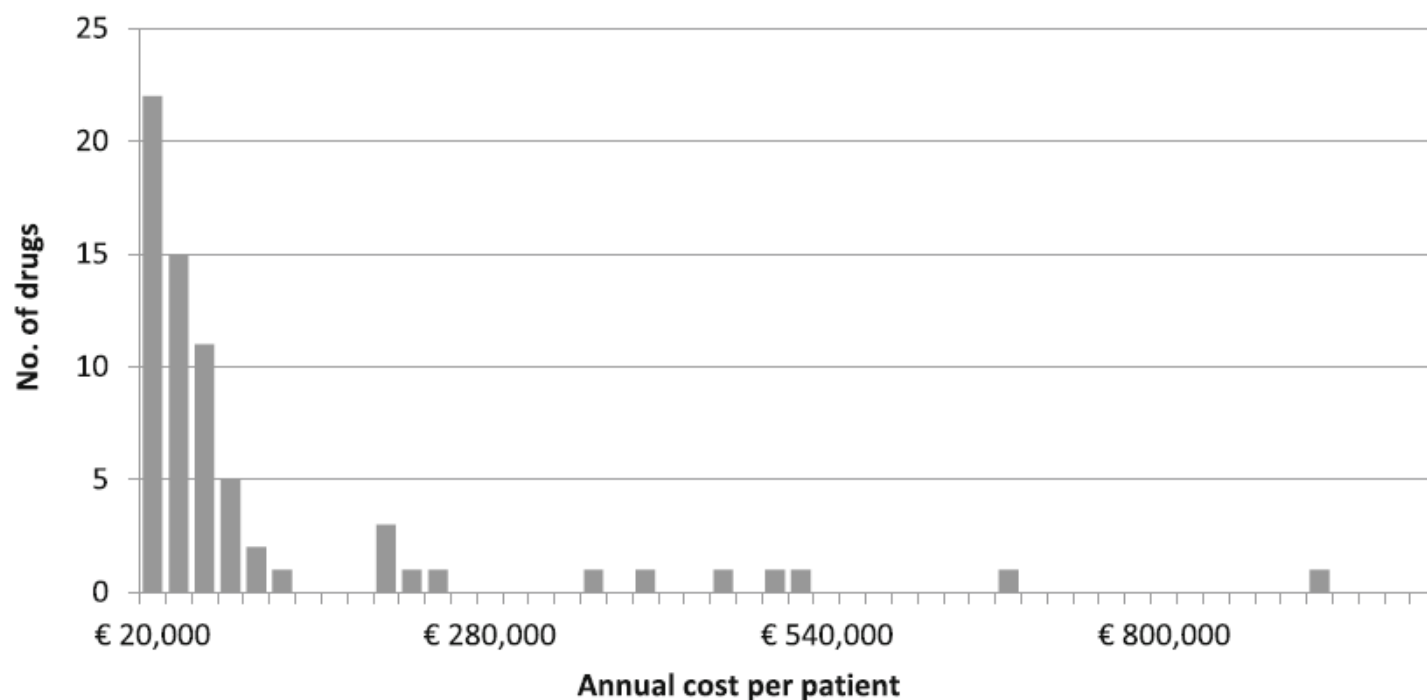
The Lancet, 20. Juli 2018

Analysis

Annual Cost per Patient



[based on 68 orphan drugs in France]

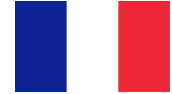


Median, €96,518 p.a.

Source: Daria Korchagina et al. *Orphanet Journal of Rare Diseases* (2017) 12:75

Analysis

Annual Cost per Patient



[based on 68 orphan drugs in France]

- **Cost Drivers** *identified in French study:*
 - (Non-) Availability of alternative treatments
 - Therapeutic area
 - Prevalence ($p=0.02$)

- **Cost Drivers** *not confirmed in French study:*
 - Severity of condition
 - Age of targeted population
 - Marketing authorization date (time span, 2002-2015)
 - Clinical evidence (phase II or III data)
 - Clinical endpoint (surrogate or „hard“)

Prevalence and Cost per Patient



Prevalence and Cost per Patient



Wirtschaftlichkeit

Die konventionelle Logik der Kosteneffektivität

- Smith RD, Richardson J:
Can we estimate the 'social' value of a QALY?
Four core issues to resolve.
Health Policy. 2005; 74 (1): 77-84.
- Schlander M:
Measures of efficiency in healthcare: QALMs about QALYs?
Z Evid Fortbild Qual Gesundheitswes. 2010; 104 (3): 214-226.
- Schlander M, Garattini S, Holm S, Kolominsky-Rabas P, Nord E, Persson U, Postma M, Richardson J, Simoens S, de Solà Morales O, Tolley K, Toumi M:
Incremental cost per quality-adjusted life year gained?
The need for alternative methods to evaluate medical interventions for ultra-rare disorders.
J Comp Eff Res. 2014; 3 (4): 399-422.
- **SwissHTA:** [www. swisshta.ch](http://www.swisshta.ch)

Wirtschaftlichkeit

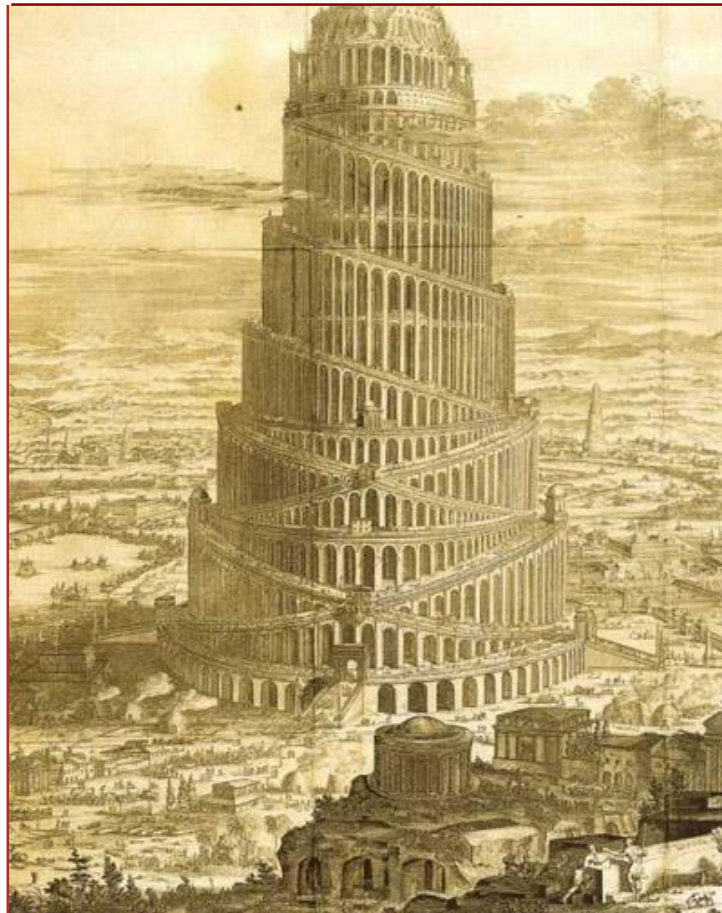
Die konventionelle Logik der Kosteneffektivität:

Linearity Assumptions

- **life time gained** (except for discounting)
“QALMs about QALYs”?
- **quality of life**
priority for those in particularly severe health states?
- **probability (or “risk”)**
large and/or immediate risks (cf. also “rule of rescue”)?
- **number of patients benefitting**
[in effect, any impact of the dimension of programs is assumed away]
OMP issue, all-or-nothing decisions / “winner takes it all”?

Vorüberlegungen

Values Talk – ein Turm von Babel?¹



→ Referral to many different and often incommensurate things...

→ **A key paradox:**

The discourse about values is both very important and very ambiguous.

→ Stakeholders may be tempted to react to this problem with either

reductionism

(focusing on one particular definition of values to the neglect of other relevant types)

or

nihilism...

(either rejecting all values analyses as equally unreliable, or accepting all as equally credible)

¹based on a Canadian policy analysis by Mita Giacomini et al. (2004)

Vorüberlegungen: «Wert» (*Value*)

Dimensions of [Social] Value

- ↪ **Clinical Efficacy**
 - ↪ “can it work?”
- ↪ **Clinical Effectiveness**
 - ↪ “does it work?”
- ↪ **Cost Effectiveness**
 - ↪ effectiveness (often preference-based, QALYs)
- ↪ **Individual Cost / Benefit**
 - ↪ (maximum individual) willingness-to-pay (I-WTP)
- ↪ **Social Cost / Value**
 - ↪ adopting a citizens’ perspective / [relative] social willingness-to-pay ([R]S-WTP)

Grenzsetzungen: «Benchmarks für Kosteneffektivität»

– Examples of international *de facto* benchmarks:

– New Zealand (PHARMAC):

NZ-\$ 20,000 / QALY¹

– Australia (PBAC):

AUS-\$ 42,000 / LYG to AUS-\$ 76,000 / LYG²

– England and Wales (NICE):

£ 20,000 – £ 30,000 / QALY

– United States (some MCOs):

US-\$ 50,000 – US-\$ 100,000 / QALY³

– Canada (proposed “grades of recommendation”):

CAN-\$ 20,000 – CAN-\$ 100,000 / QALY⁴

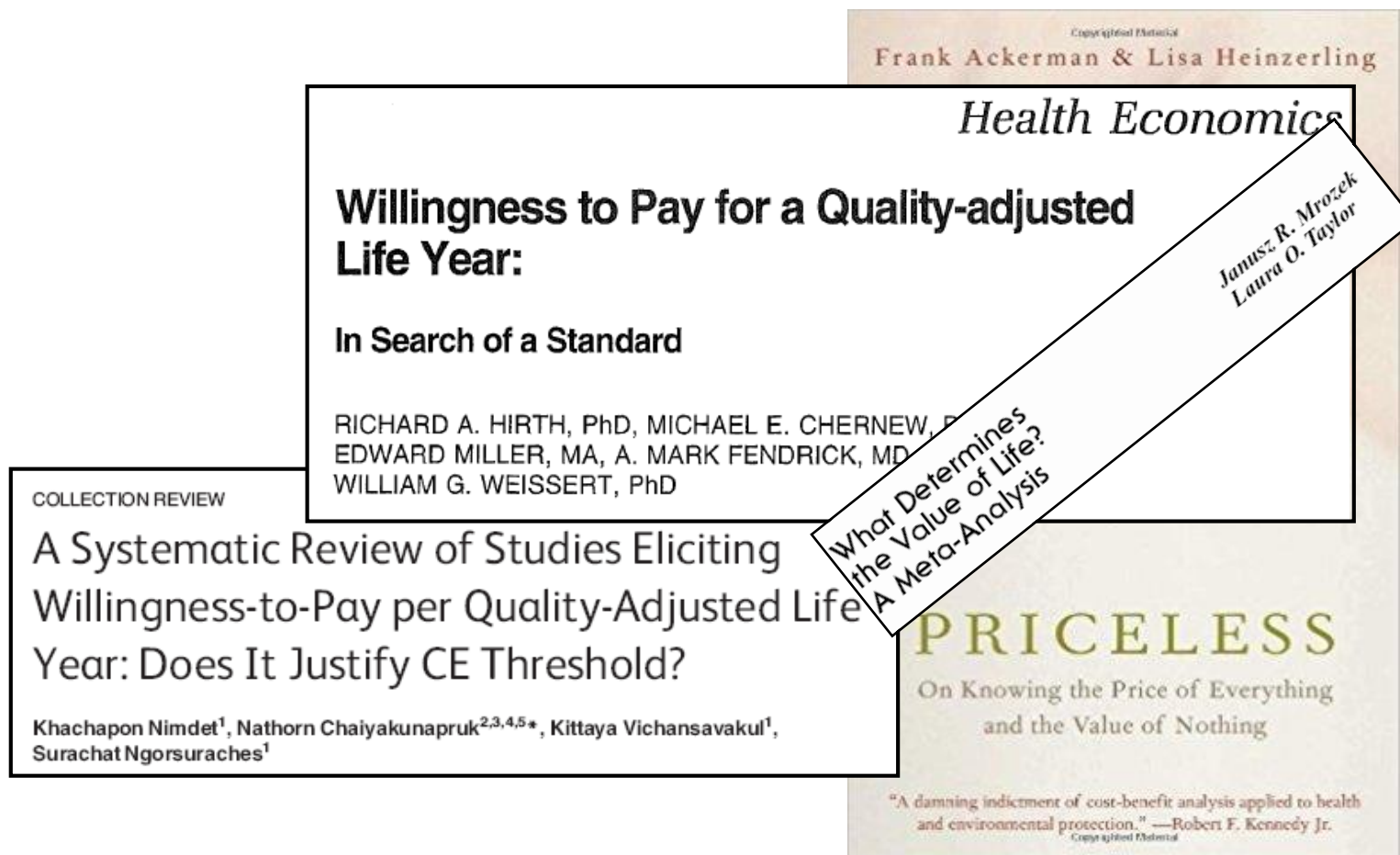
– WHO (recommendation): 1-3 times GDP/capita / DALY⁵

– No scientific basis

¹C. Pritchard (2002); QALY: “quality-adjusted life year”; ²George et al. (2001); LYG: “life year gained”

³D.M. Cutler, M. McClellan (2001); ⁴A. Laupacis et al. (1992); ⁵DALY: “disability-adjusted life year”

The Value of (a Statistical) Life (Year)



Answers offered by [Health] Economists

A Typology:

- **Value of a Statistical Life Year (VSLY)**
 - **Human Capital (HC) Approach:**
resting on productivity, *rejected by modern welfare economics*
 - **Revealed Preferences (RP) Approach:**
observed human behavior (job risk or non-occupational safety)
 - **Stated Preferences (SP) Approach:**
direct elicitation of preferences
 - **contingent valuation (CV):** direct or referendum style questions
 - **discrete choice experiments (DCEs):** choice alternatives,
where the different goods or programs are defined by their attributes
- **Willingness-to-Pay for a QALY (WTP-Q)**
 - With adjustment for reduced average quality of life in later years, WTP-Q may be ~10% greater than VSLY (Hirth et al., 2000)
 - WTP-Q exists only if QALY maximization hypothesis is accepted and normative and empirical grounds for concern are disregarded

Database for Analysis

VSLY

→ Worldwide data:

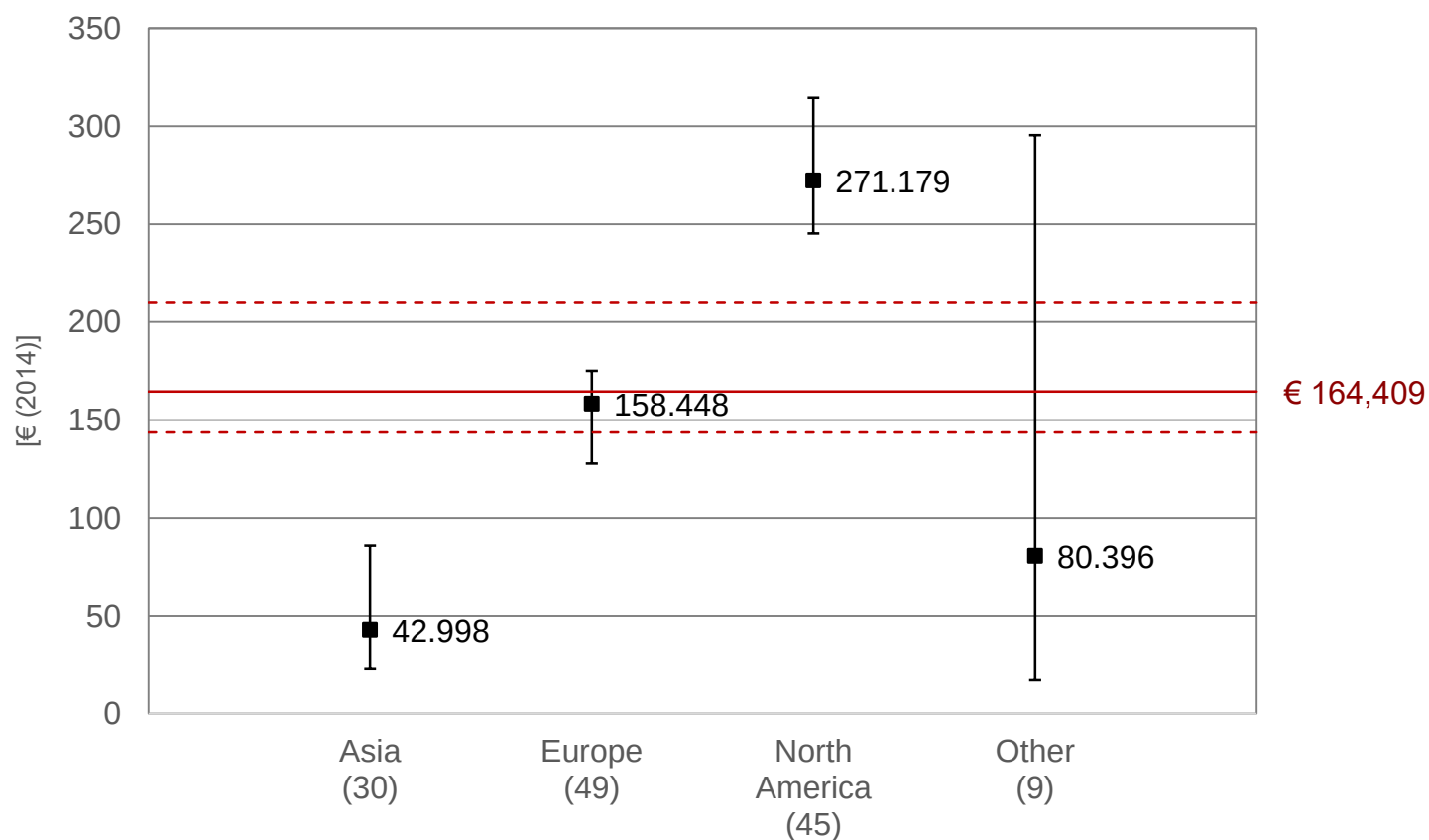
- **120 studies**,
yielding a total of 133 unique VSL estimates
- **Regional origin of studies yielding VSL estimates:**
 - Asia (30);
 - Europe (49);
 - North America (45), including US (38) and CAN (7);
 - Other (9), including Africa (2), Oceania (2) and South America (5)
- **Methodological basis of estimates:**
 - HC (0);
 - RP/WR (49);
 - RP/NO/Other (11);
 - SP/DCE (18);
 - SP/CV (55)

M. Schlender, O. Schwarz,
D. Hernandez, R. Schäfer:
New estimates of the willingness-to-
pay for a statistical life year: A
systematic review of the empirical
economic literature. *Value in Health*
(2018) 21 (Supplement 1) S111.

Value of a Statistical Life Year (VSLY)

Empirical Results from Economic Studies (WW, n=120), 1995-2015

Median VSLY Estimates by Region

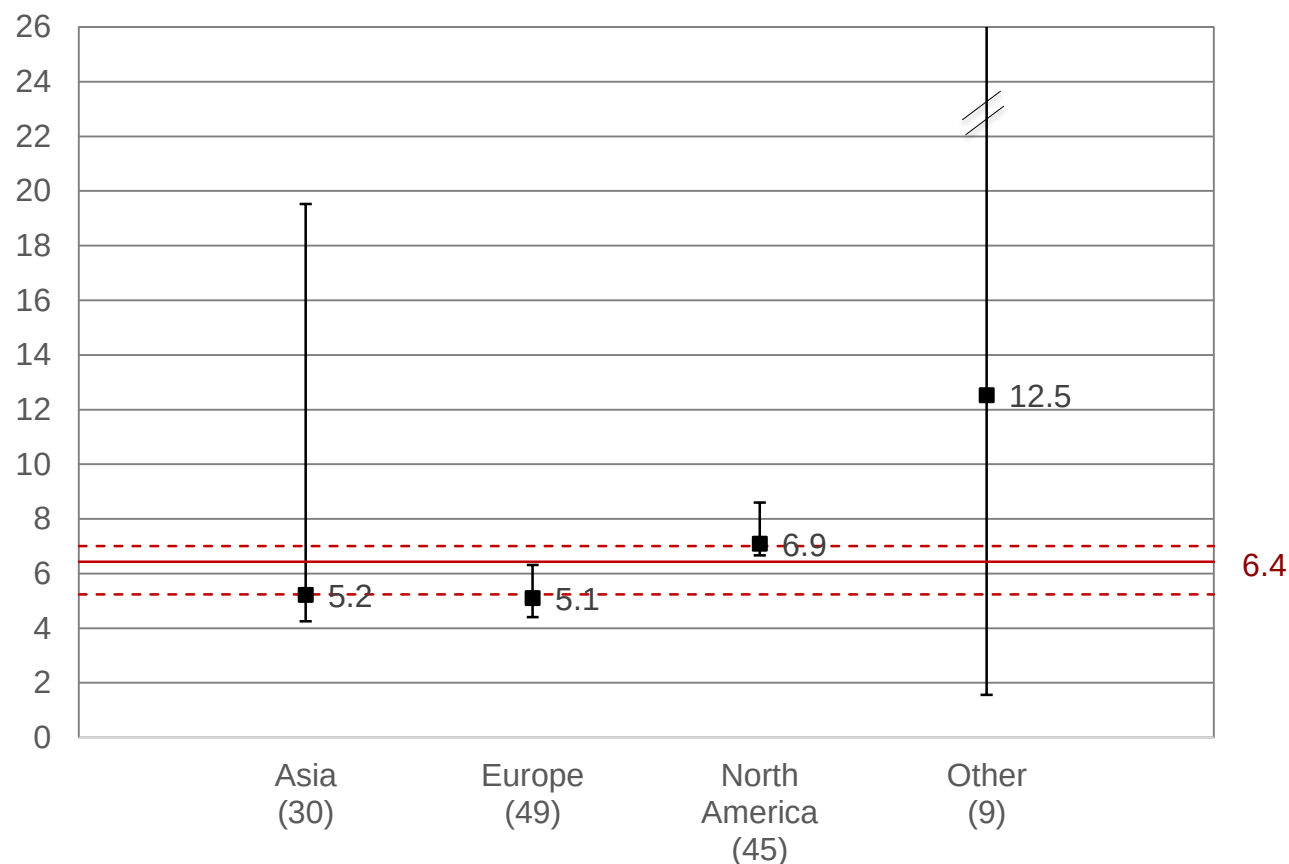


M. Schlender, O. Schwarz,
D. Hernandez, R. Schäfer:
New estimates of the willingness-to-
pay for a statistical life year: A
systematic review of the empirical
economic literature. *Value in Health*
(2018) 21 (Supplement 1) S111.

Value of a Statistical Life Year (VSLY)

Empirical Results from Economic Studies (WW, n=120), 1995-2015

Median VSLY per GDP/capita by Region

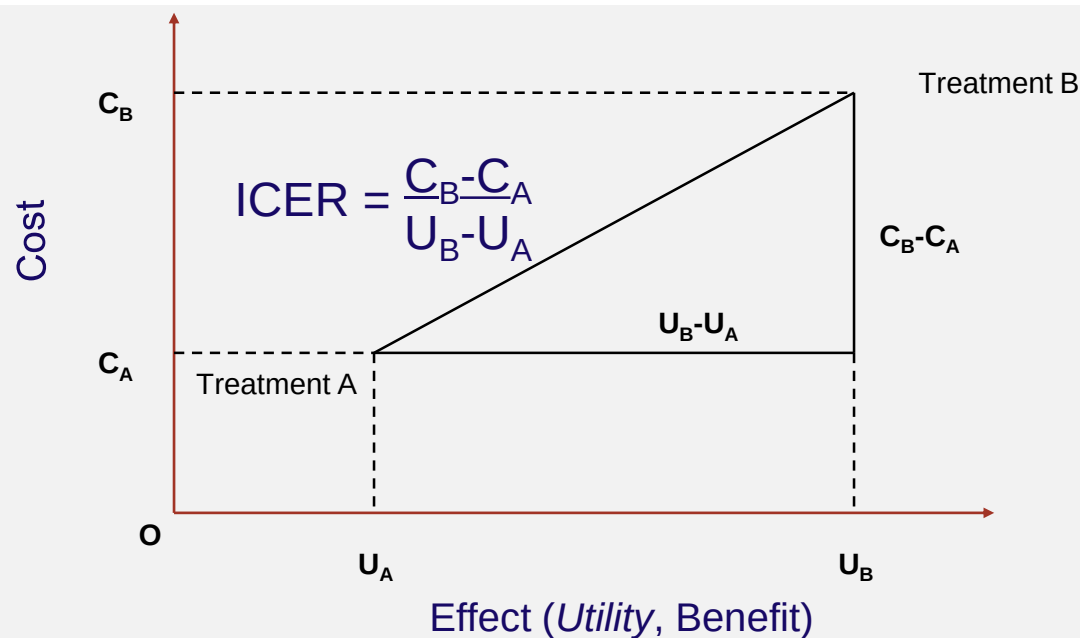


M. Schlander, O. Schwarz,
D. Hernandez, R. Schäfer:
New estimates of the willingness-to-
pay for a statistical life year: A
systematic review of the empirical
economic literature. *Value in Health*
(2018) 21 (Supplement 1) S111.

Vorüberlegungen bzgl. «Wirtschaftlichkeit»

Versagen der konventionellen Evaluationsmethodik

Focus on Incremental Cost Effectiveness Ratios (ICERs)



“Information Created to Evade Reality”?¹

¹S. Birch, A. Gafni: Information created to evade reality (ICER): things we should not look to for answers. *PharmacoEconomics* 2006; 24: 1121-1131

Conventional Wisdom

Some Further Considerations

Key Assumptions of the Conventional Logic

Quality-Adjusted Life Years (QALYs)

- (fully) capture the value of health care interventions;
- are all created equal (“a QALY is a QALY is a QALY...”).

Maximizing the number of QALYs “produced”

- ought to be the primary objective of collectively financed health schemes,
- leading to the concept of thresholds (or benchmarks) for the maximum allowed cost per QALY gained.

Decreasing cost per QALY

- implies increasing social desirability of an intervention.

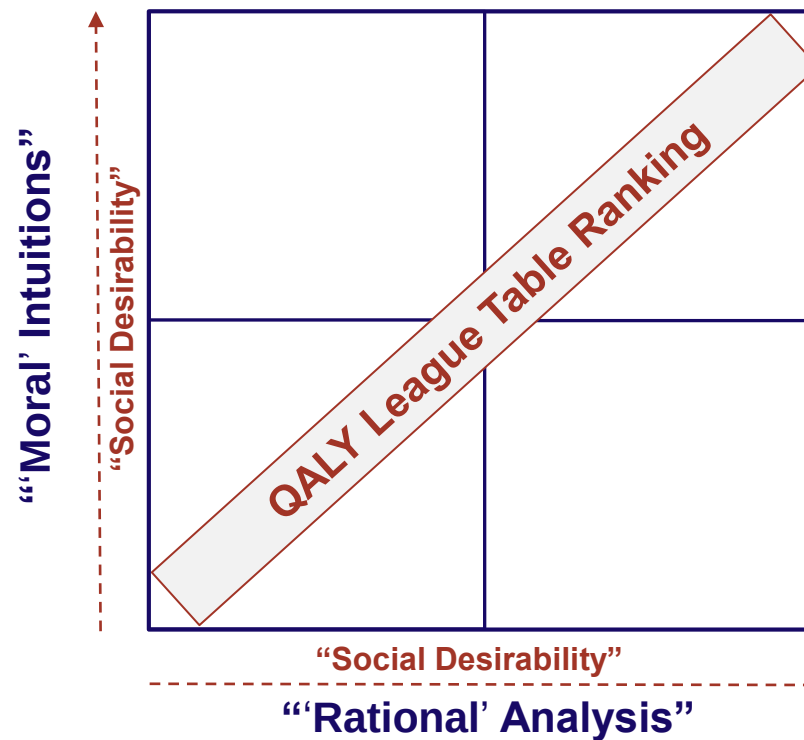
Conventional Wisdom

Some Further Considerations

Reflective Equilibrium

Ranking [original]	Intervention [abbreviated; comparator not stated in original table]	Cost / QALY [£ (1990)]
3	G.p. advice to stop smoking	£ 270
5	Antihypertensive therapy to prevent stroke	£ 940
6	Pacemaker implantation	£ 1,100
7	Valve replacement for aortic stenosis	£ 1,140
8	Hip replacement	£ 1,180
9	Cholesterol testing and treatment	£ 1,480
11	Kidney transplant	£ 4,710
12	Breast cancer screening	£ 5,780
15	Home hemodialysis	£ 17,260
18	Hospital hemodialysis	£ 21,970
20	Neurosurgery for malignant intracranial tumors	£ 107,780
21	Epoetin alfa therapy for anemia in dialysis patients	£ 126,290

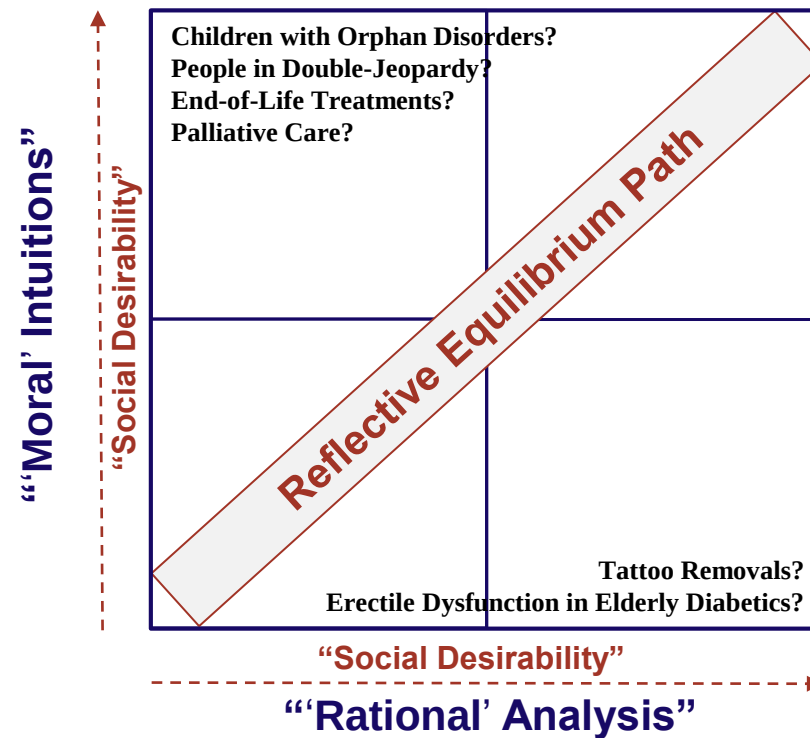
A. Maynard. *Economic Journal* 1991; 101 (408): 1277-1286



Conventional Wisdom

Some Further Considerations

Reflective Equilibrium



Conventional Wisdom

Some Further Considerations

Loopholes in the Conventional Logic of Cost Effectiveness

Effectiveness and Efficiency

- by definition, “efficiency” is a secondary or instrumental objective,
- whereas the “effectiveness” criterion invariably represents the **primary objective**.

Efficiency

Need to distinguish between

- technical efficiency, productive efficiency, and allocative efficiency;
- static and dynamic efficiency.

Social Value (“Utility”)

Existence of

- components different from individual utility and its aggregation;
- social (i.e., non-selfish) preferences, rights and duties.

Allokation und Effizienz



¹Uwe E. Reinhardt (1936-2017)

In: Barer/Getzen/Stoddard: Health, Health Care and Health Economics (1998; pp. 1-52)

**“Abstracting from
Distributional Effects,
this Policy
is Efficient.”¹**

Effektivität und Effizienz

[Definitionen]

Effektivität

Realized Output

Intended Output

(Value[s], Objective[s])

Effizienz

[Realized] Output

[Realized] Input

(By definition, efficiency
is a secondary objective)

Ziele und gesundheitspolitischer Rahmen

Bundesrat: Ziele «Gesundheit2020»

Massnahme 3.1.2:

Stärkung Health Technology Assessment

[Ziel:]

Reduktion von nicht **wirksamen** und nicht **effizienten** Leistungen sowie Medikamenten und Verfahren, um die **Qualität** zu erhöhen und die **Kosten** zu reduzieren (Stärkung von sogenannten Health Technology Assessments).

Ziel bestätigt im Bericht des BAG zum HTA-Programm des Bundes (Juli 2019) und in der Strategie «Gesundheit2030» des Bundesrates (Dezember 2019).

Ziele und rechtlicher Rahmen

HTA als Entscheidungsunterstützung (1)

Kategorie	Verordnung	Liste	Entscheid- instanz	Beratende Kommission
Leistungs- erbringer	KVV		Bundesrat	ELGK
Leistungen	KLV	KLV Anhang 1	EDI	ELGK
Mittel und Gegenstände	KLV	KLV Anhang 2 (MiGeL)	EDI	EAMGK
Analysen	KLV	KLV Anhang 3 (AL)	EDI	EAMGK
Konfektionierte Arzneimittel	SL	SL	BAG	EAK
Magistral- rezepturen	KLV	KLV Anhang 4 (ALT)	EDI	EAK

Ziele und rechtlicher Rahmen

HTA als Entscheidungsunterstützung (2)

[exemplarisch]

- ↪ Erstattungs- und Preisentscheide
 - ↪ Bewirtschaftung des Leistungskatalogs der OKP
 - ↪ Aufnahme auf Positivlisten
 - ↪ Entscheide über Limitierungen
- ↪ Managed Entry-Strategien
 - ↪ Coverage with Evidence Development
 - ↪ Risk Sharing-Vereinbarungen
- ↪ Schliessung von Evidenzlücken
- ↪ Entwicklung von Anwendungs- und Klinischen Leitlinien
- ↪ Monitoring der Umsetzung
 - ↪ Follow-Up anhand ex *ante* festgelegter messbarer Zielkriterien

Ziele und rechtlicher Rahmen

KVG (seit 1. Januar 1996):

KVG Art. 32, 1: Die Leistungen nach den Artikeln 25-31 müssen **wirksam, zweckmässig und wirtschaftlich** sein. Die Wirksamkeit muss nach wissenschaftlichen Methoden nachgewiesen sein.

Zur **Intention des historischen Gesetzgebers** zitieren Bernhard Rüsché und Andreas Wildi (2016; p. 209) eine Botschaft KVG, BBl 1992 133, wie folgt: *Der hier gewählte Weg gestattet, eine qualitative und quantitative Leistungsrationierung zu vermeiden, welche mit einem liberalen Gesundheitswesen, wie dem unseren, unvereinbar ist. Jedenfalls stehen wir nach wie vor dazu, dass die Wahlfreiheit des Patienten auf der einen und die Behandlungsfreiheit des Arztes auf der anderen Seite die beiden Eckpfeiler unseres Systems sind und bleiben. Die Aufgabe der Krankenversicherung besteht darin, zwischen diesen beiden Eckpfeilern ein ausgewogenes Leistungskonzept zu erstellen mit dem vorrangigen Ziel, den Versicherten eine qualitativ hochstehende Behandlung zu möglichst günstigen Kosten zu gewährleisten. Leistungserweiterung und Kosteneindämmung sind also integrierender Bestandteil desselben Systems.*

Ziele und rechtlicher Rahmen

Grundrechtskonformität von Limitierungen:

Bindung an Grundrechte

- ↪ Grundrechte von Patienten
- ↪ Therapiefreiheit von Ärzten

Rechtfertigung von Grundrechtseinschränkungen¹

Einschränkungen verfassungsmässiger Rechte bedürfen einer formellen gesetzlichen Grundlage; zumindest für den Spital- und Pflegebereich gibt es mit Art. 54 KVG (nämlich der Möglichkeit eines Globalbudgets) eine rechtliche Grundlage für eine denkbare Rationierung von wirksamen medizinischen Leistungen.

- ↪ Öffentliches Interesse
- ↪ Verhältnismässigkeit

¹in Anlehnung an Bernhard Rüsch / Andreas Wildi (*recht*, 2016; pp. 208ff.)

Ziele und rechtlicher Rahmen

Bundesverfassung

→ Grundsatz der Rechtsgleichheit (vgl. Art. 8 BV)

Abs. 1: Alle Menschen sind vor dem Gesetz gleich.

Abs. 2: Niemand darf diskriminiert werden [...]

Abs. 4: Das Gesetz sieht Massnahmen zur Beseitigung von Benachteiligungen der Behinderten vor.

→ Recht auf Leben und auf persönliche Freiheit (vgl. Art. 10 BV)

→ Abs. 1: Jeder Mensch hat das Recht auf Leben. [...]

→ Abs. 2: Jeder Mensch hat das Recht auf persönliche Freiheit, insbesondere auf körperliche und geistige Unversehrtheit und auf Bewegungsfreiheit.

→ Schutz der Kinder und Jugendlichen (vgl. Art. 11 BV)

Abs. 1: Kinder und Jugendliche haben Anspruch auf besonderen Schutz ihrer Unversehrtheit und auf Förderung ihrer Entwicklung.

→ Recht auf Hilfe in Notlagen (vgl. Art. 12 BV)

Wer in Not gerät [...], hat Anspruch auf Hilfe und Betreuung und auf die Mittel, die für ein menschenwürdiges Dasein unerlässlich sind.

Ziele und rechtlicher Rahmen

Eine juristische Interpretation¹

– Verfassungsrechtliche Überlegungen

legen es [...] nahe, von primär (quasi-)utilitaristischen Ansätzen und fixen Kostenschwellen abzusehen.

– Das **Schweizer Gesundheitsrecht** wird vielmehr in erheblichem Masse vom Solidaritätsgedanken geprägt:

- Bund und Kantone haben sich gemäss Art. 41 Abs. 1 lit. b BV dafür einzusetzen, dass „jede Person die für ihre Gesundheit notwendige Pflege erhält“...
- ... und dass jede Person gegen die wirtschaftlichen Folgen u.a. von Alter, Invalidität, Krankheit und Unfall gesichert ist (Art. 41 Abs. 2 BV).

– **Zeitgenössisches Verfassungsdenken** ist zudem dem Gedanken der Verfahrensgerechtigkeit verpflichtet. Diese verlangt eine breite Einbeziehung aller Betroffenen und ihrer Interessen sowie eine sorgfältige Abwägung differierender Gesichtspunkte im Einzelfall...

¹Gerhard Schmid (Basel) in einer Stellungnahme für SwissHTA vom 24. August 2011

Verfahrensgerechtigkeit

HTA-Entwicklung: Transparenz und Stakeholder-Einbezug

Accountability for Reasonableness¹ (A4R)-Kriterien:

1. Publicity Condition:

Decisions regarding coverage for new technologies (and other limit-setting decisions) and their rationales must be publicly accessible.

2. Relevance Condition:

These rationales must rest on evidence, reasons, and principles that all fair-minded parties (managers, clinicians, patients, and consumers in general) can agree are relevant to deciding how to meet the diverse needs of a covered population under necessary resource constraints.

3. Appeals Condition:

There is a mechanism for challenge and dispute resolution regarding limit-setting decisions, including the opportunity for revising decisions in light of further evidence or arguments.

4. Enforcement Condition:

There is either voluntary or public regulation of the process to ensure that the first three conditions are met.

¹Norman Daniels / James Sabin (1998)

Verfahrensgerechtigkeit

HTA-Entwicklung: Transparenz und Stakeholder-Einbezug

Accountability for Reasonableness¹ (A4R)-Kriterien:

1. Publicity Condition:

Decisions regarding coverage for new technologies (and other limit-setting decisions) and their rationales must be publicly accessible.

2. Relevance Condition:

These rationales must rest on evidence, reasons, and principles that all fair-minded parties (managers, clinicians, patients, and consumers in general) can agree are relevant to deciding how to meet the diverse needs of a covered population under necessary resource constraints.

3. Appeals Condition:

There is a mechanism for challenge and dispute resolution regarding limit-setting decisions, including the opportunity for revising decisions in light of further evidence or arguments.

4. Enforcement Condition:

There is either voluntary or public regulation of the process to ensure that the first three conditions are met.

¹Norman Daniels / James Sabin (1998)

Evaluationskriterien

HTA als Multi-Criteria Decision Analysis (MCDA)

Definitionen

- ↪ **Health Technology** is
any intervention that may be used to promote health, prevent, diagnose or treat disease, or for rehabilitation or long-term care. This includes pharmaceuticals, devices, procedures and organisational systems used in health care.¹
- ↪ **Health Technology Assessment (HTA)** is
a multidisciplinary field of policy analysis, which incorporates the medical, social, ethical and economic implications of development, diffusion, and use of health technology.¹
- ↪ **Schweiz:**
Normativer und institutioneller Rahmen; WZW-Kriterien

¹International Network of Agencies for Health Technology Assessment, www.inahta.org/HTA/

Evaluationskriterien

Multi-Criteria Decision Analysis (MCDA)

Strukturmerkmale

- ▢ Gruppe entscheidungstheoretischer Modelle
- ▢ Ursprünge als Teildisziplin des Operations Research
- ▢ Definition der Alternativen (im Fall von HTA: «PICO»)
- ▢ Zieldefinition: Entscheidungskriterien (iRolle von «WZW»)
 - Idealtypisch zur Unterstützung deliberativer Prozesse:
 - ▢ unabhängige Kriterien («independent»)
 - ▢ überlappungsfreie Kriterien («mutually exclusive»)
 - ▢ vollständige Abbildung der (Teil-)Ziele («comprehensive»)
- ▢ Methodenwahl: Umgang mit Nutzen, Kosten und Unsicherheit
- ▢ Evaluationsprinzipien
 - ▢ Gewichtung und Aggregation der Entscheidungskriterien

Evaluationskriterien

Offizielle WZW-Kriterien

Verordnungen konkretisieren die WZW-Kriterien v.a. für **Medikamente**, während andere (Vor-)Leistungsbereiche vergleichsweise unbestimmten Regeln unterliegen.

- **Wirksamkeit**

eng orientiert an Registrierungsunterlagen (swissmedic)

- **Zweckmässigkeit**

klinisch-pharmakologische Erwägungen, ebenfalls
eng orientiert an Registrierungsunterlagen (swissmedic)

- **Wirtschaftlichkeit**

eher vage definiert

Wirksamkeit

KVG, Art. 32,1:

Die Leistungen nach den Artikeln 25-31 müssen wirksam, zweckmässig und wirtschaftlich sein. Die Wirksamkeit muss nach wissenschaftlichen Methoden nachgewiesen sein.

Arzneimittel: KLV, Art. 32 (Wirksamkeit¹):

Das BAG stützt sich für die Beurteilung der Wirksamkeit auf die Unterlagen, die für die Registrierung durch die Swissmedic massgebend waren. Es kann weitere Unterlagen verlangen.

¹KLV: Krankenpflege-Leistungsverordnung
vom 29.09.1995, Stand 01.01.2015;
3. Abschnitt: Spezialitätenliste

Zweckmässigkeit

Arzneimittel: KLV, Art. 33 (Zweckmässigkeit¹):

- 1 Die Zweckmässigkeit eines Arzneimittels in Bezug auf seine Wirkung und Zusammensetzung wird nach **klinisch-pharmakologischen** und **galenischen Erwägungen**, nach **unerwünschten Wirkungen** sowie nach der **Gefahr missbräuchlicher Verwendung** beurteilt.
- 2 Das BAG stützt sich für die Beurteilung der Zweckmässigkeit auf die Unterlagen, die für die Zulassung durch die Swissmedic massgebend waren. Es kann weitere Unterlagen verlangen.

¹KLV: Krankenpflege-Leistungsverordnung
vom 29.09.1995, Stand 01.01.2015;
3. Abschnitt: Spezialitätenliste

Wirtschaftlichkeit

KVG, Art. 56 (Wirtschaftlichkeit der Leistungen):

- 1 Der Leistungserbringer muss sich in seinen Leistungen auf das Mass beschränken, das im Interesse der Versicherten liegt und für den Behandlungszweck erforderlich ist.
- 2 Für Leistungen, die über dieses Mass hinausgehen, kann die Vergütung verweigert werden. Eine nach diesem Gesetz dem Leistungserbringer zu Unrecht bezahlte Vergütung kann zurückgefordert werden. [...]
- 3 [...]

Wirtschaftlichkeit

Arzneimittel: KVV, Art. 65b¹
(Beurteilung der Wirtschaftlichkeit):

- Therapeutischer Quervergleich
- Auslandspreisvergleich
- Innovationszuschlag

[Bringt das Arzneimittel einen bedeutenden therapeutischen Fortschritt, so wird im Rahmen des therapeutischen Quervergleichs während höchstens 15 Jahren ein Innovationszuschlag berücksichtigt.]

Evaluationskriterien

WZW-Kriterien: Arbeitspapier ELGK (21. Juli 2011)

Verbesserungsvorschläge

1. Wirksamkeit

Nettonutzen nachgewiesen in randomisierten klinischen Studien
und im Schweizer Anwendungssetting bestätigt?

Ranking anhand Plausibilität, Studienqualität und Grad des Vertrauens

2. Zweckmässigkeit

Relevanz / Erforderlichkeit, Nutzen-Schaden-Profil im Vergleich,
Zumutbarkeit (Nutzen-Schaden-Relation),
Verhältnismässigkeit des Mitteleinsatzes?

3. Wirtschaftlichkeit

Wirtschaftlichkeit und Nachvollziehbarkeit der Kosten und Preise,
Kosten-Nutzen-Profil, Kostenfolgen?

Evaluationskriterien

WZW-Kriterien: Arbeitspapier ELGK (21. Juli 2011)

Verbesserungsvorschläge

Schrittweise Evaluation:

1. **im Geltungsbereich des KVG?**
2. **Zweckmässigkeit 1:** a) Relevanz / Erforderlichkeit der Leistung? (Schweregrad, keine selbstlimitierende Krankheit...?); b) verfügbare Alternativen?
3. **Wirksamkeit 1:** Nutznachweis
4. **Wirksamkeit 2:** Schweizer Anwendungsbedingungen?
5. **Zweckmässigkeit 2:** Eignung / Zumutbarkeit / Sicherheit (Nutzen-Schadens-Bilanz, wenn möglich im Vergleich)
6. **Zweckmässigkeit 3:** angemessener Einsatz im Einzelfall zu erwarten?
7. **Wirtschaftlichkeit 1:** Preis erklärt / akzeptabel? (Kostenelemente, Quervergleich)
8. **Wirtschaftlichkeit 2:** Kosten-Nutzen-Verhältnis (ICER), Vergleich zu Komparator
9. **Wirtschaftlichkeit 3:** Kostenfolgen

Evaluationskriterien

WZW-Kriterien: «Definition and Operationalization»

(BAG, 19. Mai 2016, 2. Mai 2017, 8. August 2017)

Wirksamkeit («effectiveness»)

- ▢ Safety, Efficacy, Effectiveness, Ongoing Studies / Evidence Gap

Zweckmässigkeit («appropriateness»)

- ▢ Quality Assurance, Clinical Practice, Future of the Technology, Appropriate Care (potential for inappropriate use), Ethical Issues, Societal Issues, Legal Issues

Wirtschaftlichkeit («economic efficiency»)

- ▢ Costs, Budget Impact, Costs versus Health Outcomes

- ▢ **Transparenz?**

- ▢ **Stakeholder-Beizug?**

Gesundheitspolitischer Kontext

«HTA-Programm des Bundes»

[Workshop des BAG am 27. Juni 2019]

Sektion HTA im BAG seit Juli 2017

- Start mit 4 FTEs
- ab Juni 2019 ausgebaut auf 8 FTEs

Bericht über laufende HTA-Themen und Themenfindung

Fokus auf Disinvestment

«Überarbeitung der Priorisierung»

- Neue Priorisierungskriterien
- Punktesystem anhand Einsparpotential (?)

Qualität der HTA-Berichte «von sehr gut bis sehr schlecht»

Erwähnung eines «BAG WZW Operationalisierungshandbuch» (?)

- **Transparenz?**
- **Belastbarkeit?**

Nutzendimensionen ...

... und WZW-Kriterien

- ↪ **Clinical Efficacy** **Wirksamkeit [?]**
 - ↪ “can it work?”
- ↪ **Clinical Effectiveness** **Wirksamkeit [!]**
 - ↪ “does it work?”
- ↪ **Cost Effectiveness** **Wirtschaftlichkeit [!]**
 - ↪ effectiveness (often preference-based, QALYs)
- ↪ **Individual Cost / Benefit** **Wirtschaftlichkeit [?]**
 - ↪ (maximum individual) willingness-to-pay (I-WTP)
- ↪ **Social Cost / Value** **Zweckmässigkeit [?]**
 - ↪ adopting a citizens' perspective / [relative] social willingness-to-pay ([R]S-WTP)

Nutzenbewertung und WZW-Kriterien

Notwendigkeit der Operationalisierung

Logischer Zusammenhang:

Werturteile / rechtlicher und institutioneller Rahmen



Primäre Ziele (OKP)



Methodenwahl



HTA-Outcomes

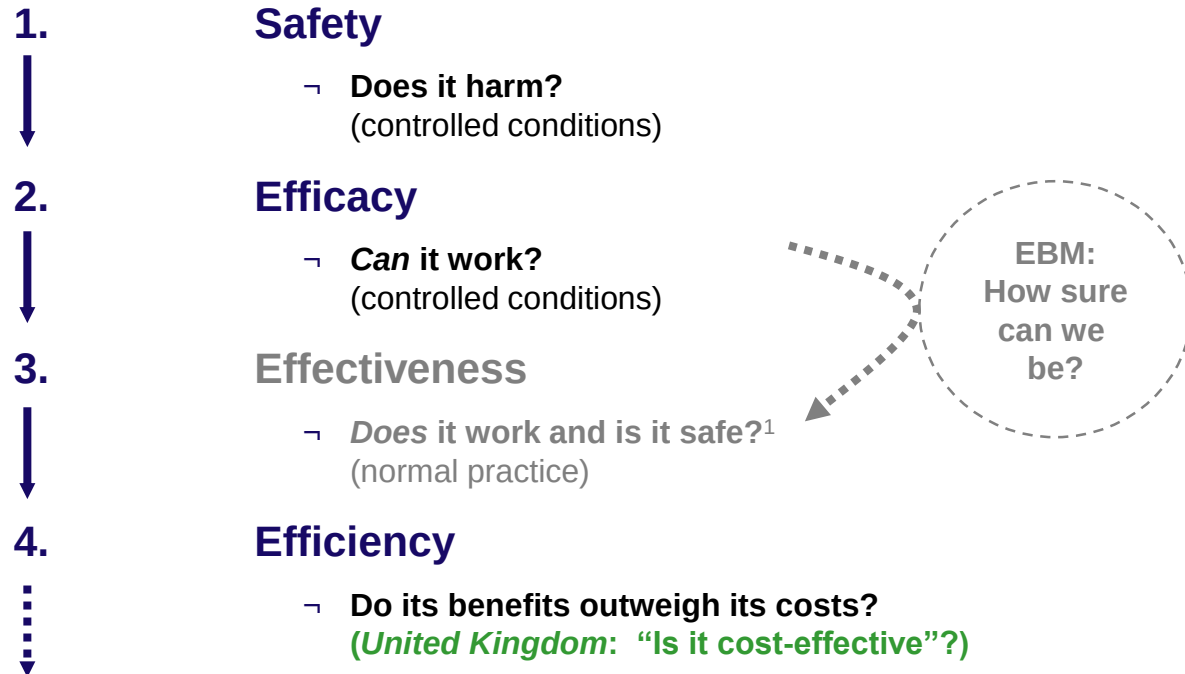
- Illustration anhand eines HTA-Vergleichs Deutschland / England:
- NICE – Single Technology Appraisals
- IQWiG / GBA – frühe Nutzenbewertungen

Nutzenbewertung: Internationale HTAs

England: NICE



Die Logik der Kosteneffektivität



Nutzenbewertung: Internationale HTAs

Deutschland: GBA / IQWiG



Die Logik der evidenzbasierten Medizin

1.



Safety

- Does it harm?
(controlled conditions)

2.



Efficacy

- Can it work?¹
(controlled conditions)

3.



Effectiveness

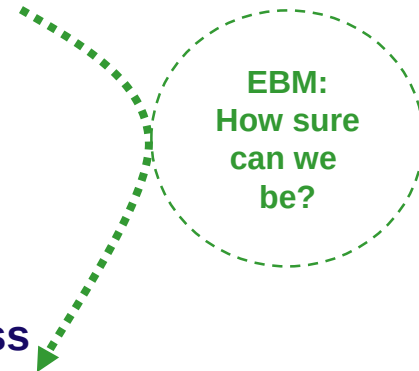
- Does it work and is it safe?
(normal practice)

4.



Comparative Effectiveness

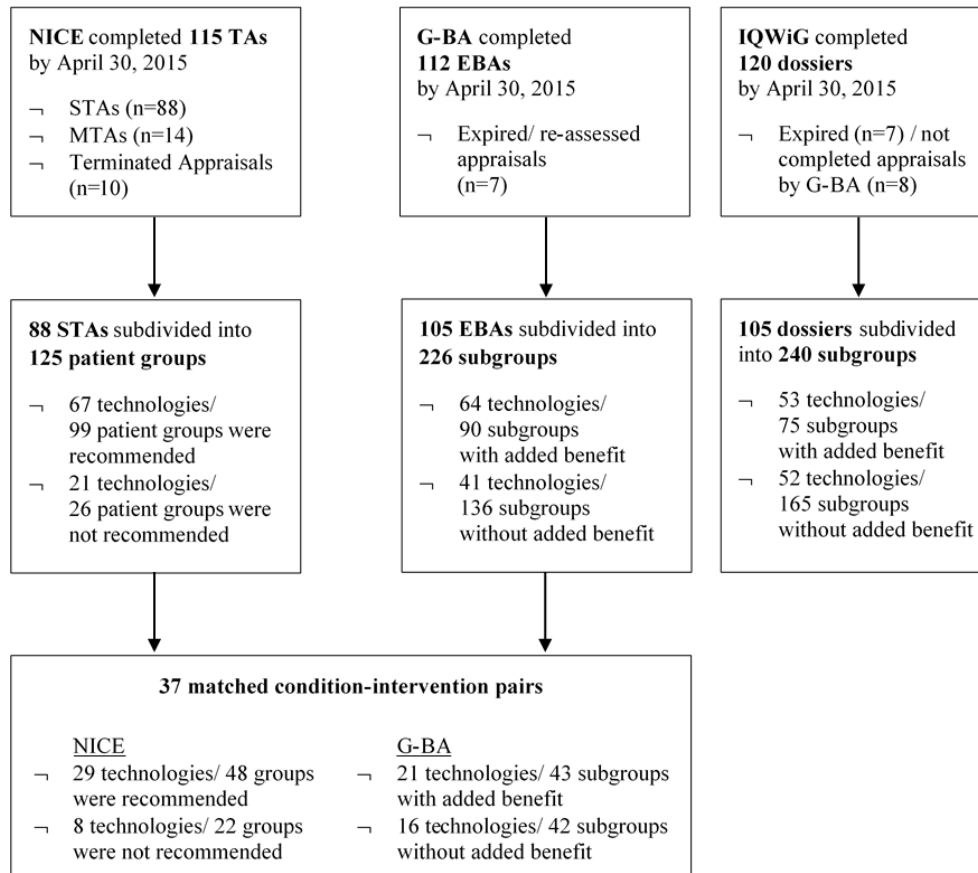
- Does it outperform current standard therapy?
(Germany: "Is it more effective"?)



Nutzenbewertung: Internationale HTAs

Vergleich Deutschland / England

37 Matched Condition / Intervention Pairs



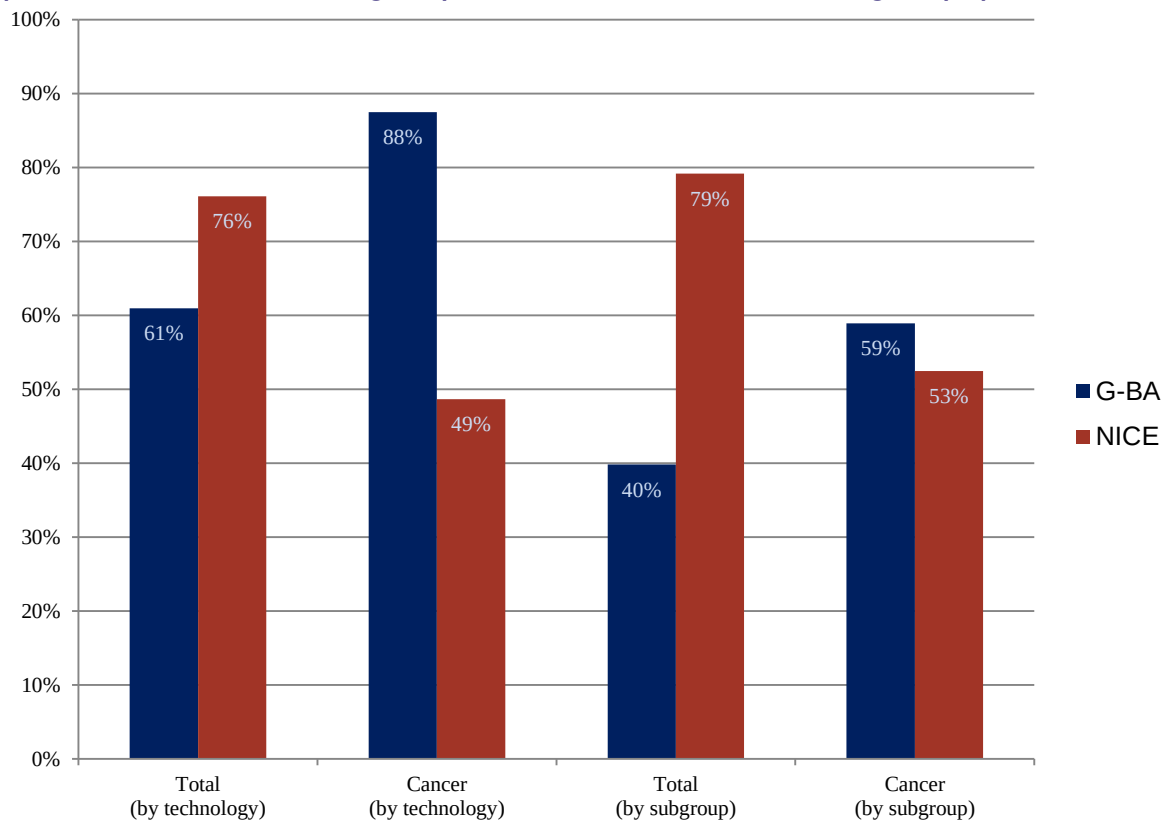
R. Schäfer and M. Schlander, *Expert Rev Pharmacoecon Outcomes Res.* 2019 Aug;19 (4): 453-462.

Nutzenbewertung: Internationale HTAs

Vergleich Deutschland / England

Alle Appraisals

(NICE, n=88 / 125 subgroups; GBA, n=105 / 226 subgroups)

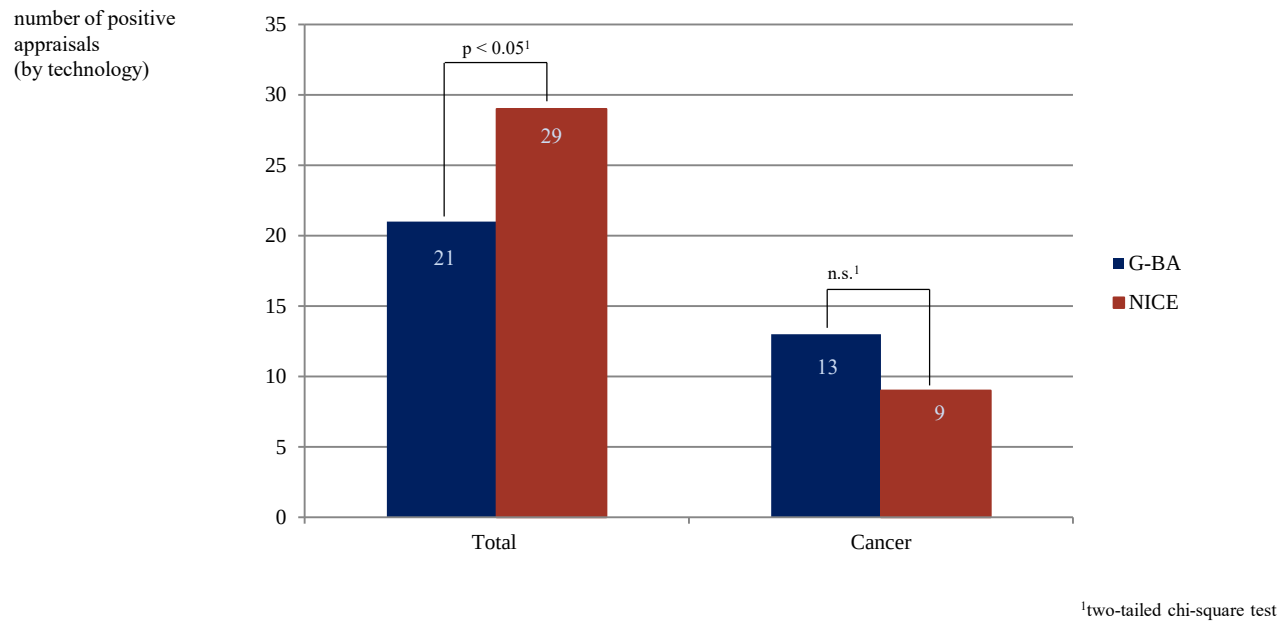


R. Schäfer and M. Schlander, *Expert Rev Pharmacoecon Outcomes Res.* 2019 Aug;19 (4): 453-462.

Nutzenbewertung: Internationale HTAs

Vergleich Deutschland / England

37 Matched Condition / Intervention Pairs



Nutzenbewertung: Internationale HTAs

NICE [National Institute for Health and Care Excellence]

NICE Diagnostics Assessment Programme

[Review]

[NICE Guidance / Diagnostics Guidance]

- **n = 31 Assessments** im Zeitraum von Januar 2011 bis Januar 2018
- **20 von 31 (65%) Diagnostic Guidance (DG)** abschliessend **empfohlen**
- insgesamt **26 von 31 (>80%) DG** mit **positiver Bewertung**,
sofern geforderte Daten nachgereicht werden

NICE bewertet nur insgesamt 2 von 31 Diagnostika negativ (d.h. keine Empfehlung für eine Aufnahme in den Leistungskatalog des NHS); weitere 9 von 31 Diagnostika bewertet NICE nicht abschliessend, sondern verweist auf weiteren Forschungsbedarf (d.h. die vorliegende Evidenz reicht zum Bewertungszeitpunkt nicht für eine abschliessende Empfehlung durch NICE aus).

Wege zur Konkretisierung

HTA und WZW: Transparenz und Stakeholder-Beizug

Accountability for Reasonableness¹ (A4R)-Kriterien:

1. Publicity Condition:

Decisions regarding coverage for new technologies (and other limit-setting decisions) and their rationales must be publicly accessible.

2. Relevance Condition:

These rationales must rest on evidence, reasons, and principles that all fair-minded parties (managers, clinicians, patients, and consumers in general) can agree are relevant to deciding how to meet the diverse needs of a covered population under necessary resource constraints.

3. Appeals Condition:

There is a mechanism for challenge and dispute resolution regarding limit-setting decisions, including the opportunity for revising decisions in light of further evidence or arguments.

4. Enforcement Condition:

There is either voluntary or public regulation of the process to ensure that the first three conditions are met.

¹Norman Daniels / James Sabin (1998)

Wege zur Konkretisierung

Konkretisierung

im Hinblick auf internationale Synergien und Effizienz des Verfahrens

... beachtenswert:

- **Wirksamkeit**

[**aussichtsreich**: Comparative Effectiveness; individuelle Nutzenbewertung?]

- **EUnetHTA-Modell**

[Präferenz des BAG? / Transparenz /

aber: modularer Aufbau des EUnetHTA Core Model]

- **Zweckmässigkeit und Wirtschaftlichkeit?**

[WZW-Kriterien sind dem EUnetHTA Core Model fremd;

systematische Prüfung von Kompatibilität und Implikationen]

Wege zur Konkretisierung

Konkretisierung

v.a. notwendig mit Blick auf Zweckmässigkeit und Wirtschaftlichkeit

... beachtenswert:

- **A4R** [Accountability for Reasonableness]
Transparenz, Stakeholder-Beizug, deliberativer Prozess]
- **MCDA** [Multi-Criteria Decision Analysis]
idealerweise überlappungsfreie, voneinander unabhängige, vollständige, als relevant erkannte und auf Bundesebene konsenterte Evaluationskriterien]
- **CER, CEA, SCVA**
[Comparative Effectiveness Research, Cost Effectiveness Analysis;
Social Cost Value Analysis – und ihre angemessenen Rollen]:
normativer Rahmen; Erwartungen & Präferenzen der Stimmbürger;
Kostenfolgen (je Stimmbürger) und daraus ableitbare Grenzsetzungen

Wege zur Konkretisierung

Konkretisierung

└ Individuelle Nutzenperspektive

[Definition & Operationalisierung; individuelle Präferenzen;
Opportunitäten für internationale Zusammenarbeit?]

└ Soziale Nutzenperspektive

[Rechtlicher und institutioneller Rahmen;
soziale Präferenzen der Stimmbürger?]

└ Kostenperspektive

[inkrementale Kosten pro Fall;
Kostenfolgen und inkrementale Kosten pro Stimmbürger]

=> Evaluationskriterien für Gestaltungsoptionen

Wege zur Konkretisierung

Iterativer Prozess auf Bundesebene (vgl. A4R)

– **Vertiefte Situationsanalyse Schweiz**

[bisherige Handhabung der WZW-Kriterien seit Inkrafttreten des KVG;
Ziele der solidarischen Gesundheitsversorgung im Rahmen der OKP]

– **Rechtlicher und institutioneller Rahmen**

[Bundesverfassung / KVG / Bundesgericht / Bundesverwaltungsgericht;
internationaler Rechtsvergleich – Schweiz; England, Frankreich, Deutschland;
HTA-Prozesse, -Institutionen und –Kriterien: CH, GB, FR, DE]

– **Konzeptentwicklung und Operationalisierung**

[Best Case- und alternative Szenarien; Notwendigkeit und Vorteilhaftigkeit]

– **Implementierungsvorbereitung**

[Ausformulierung, kontextsensible Adaptation, Synergiepotenziale]

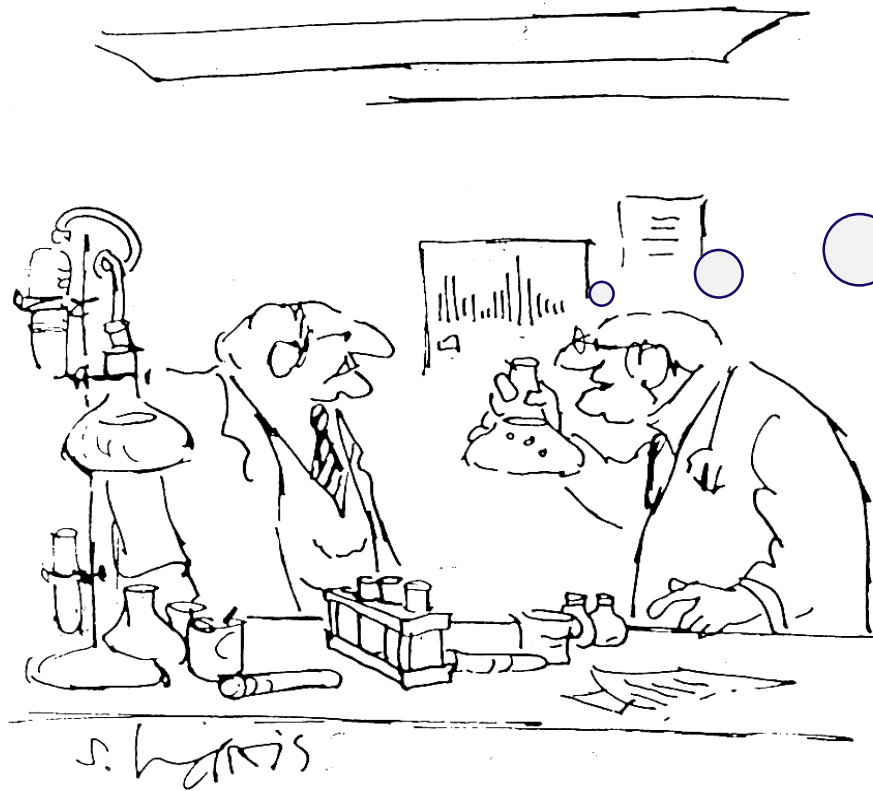
Vorteile einer Konkretisierung der WZW-Kriterien

in einem iterativen, deliberativen Prozess (vgl. A4R):

- ↪ **Transparenz**
- ↪ **Relevanz**
- ↪ **Überprüfbarkeit**
- ↪ **Legitimität und Legalität (Rechtssicherheit)**
- ↪ **Konsistenz und Fairness (Gleichbehandlung)**
- ↪ **Akzeptanz und Implementierung**
- ↪ **Kontextsensible Durchsetzung**
- ↪ **Reduktion von Bürokratie und Administration**

Konkretisierung: Optimierungspotenziale

Reduktion von Unsicherheit



**"It may well
bring about
immortality**

—

**but it will
take
forever
to test
it."**

Vielen Dank für Ihre Aufmerksamkeit!

Prof. Dr. Michael Schlander

Kontakt

www.dkfz.de

www.innoval-hc.com

www.michaelschlander.com

michael.schlander@dkfz.de

michael.schlander@innoval-hc.com

michael.schlander@medma.uni-heidelberg.de

German Cancer Research Center /
Deutsches Krebsforschungszentrum (DKFZ)

Im Neuenheimer Feld 280
D-69120 Heidelberg

Tel.: +49 (0) 6221 42 1910

**Institute for Innovation &
Valuation in Health Care**
[InnoVal^{HC}]

An der Ringkirche 4
D-65197 Wiesbaden

+49 (0) 611 4080 78912