



Gemeinsamer
Bundesausschuss

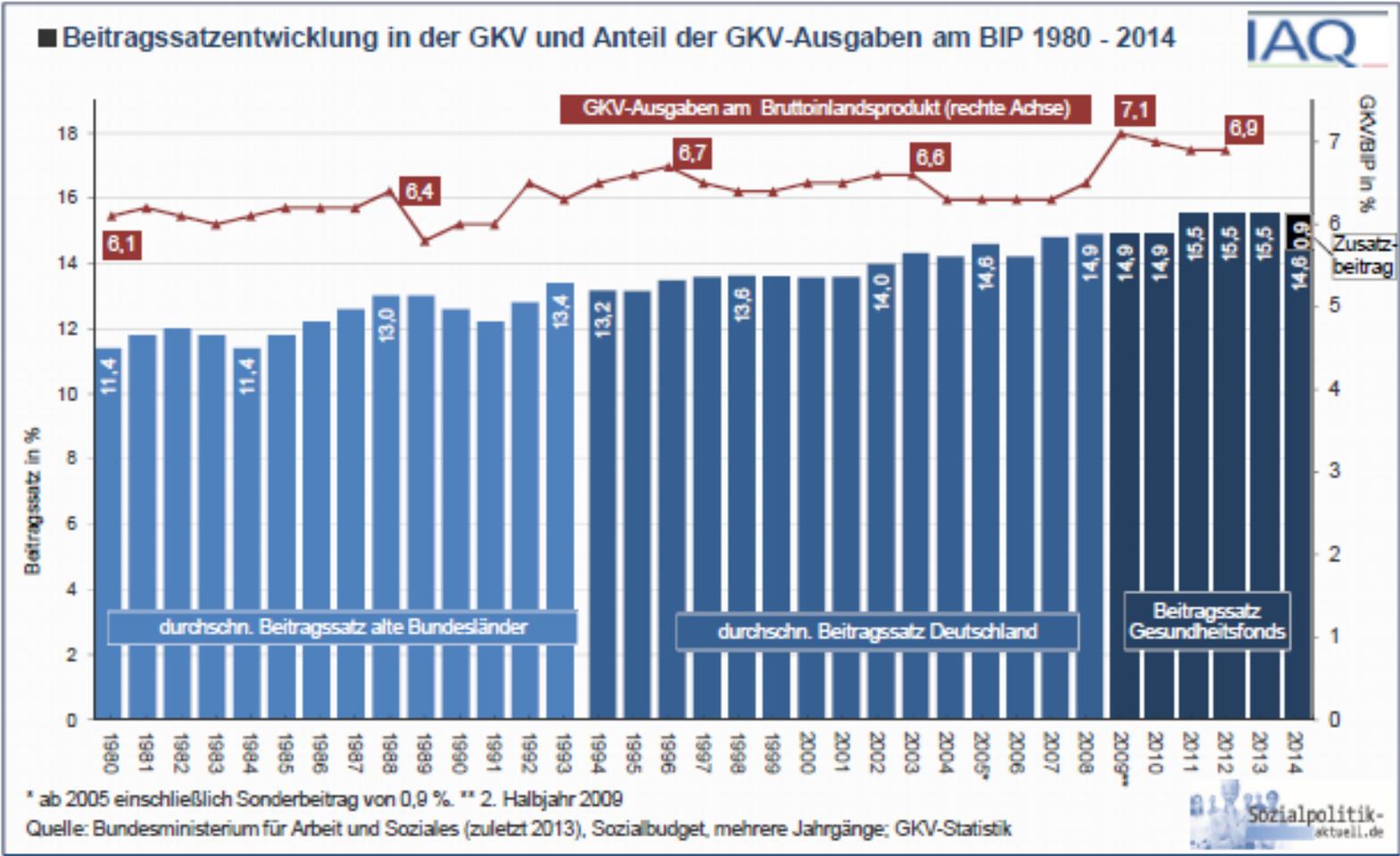
„Individualisierung der Therapie im digitalen Zeitalter – neue Herausforderungen für Zulassung und Nutzenbewertung“

Josef Hecken

Unparteiischer Vorsitzender des Gemeinsamen Bundesausschusses

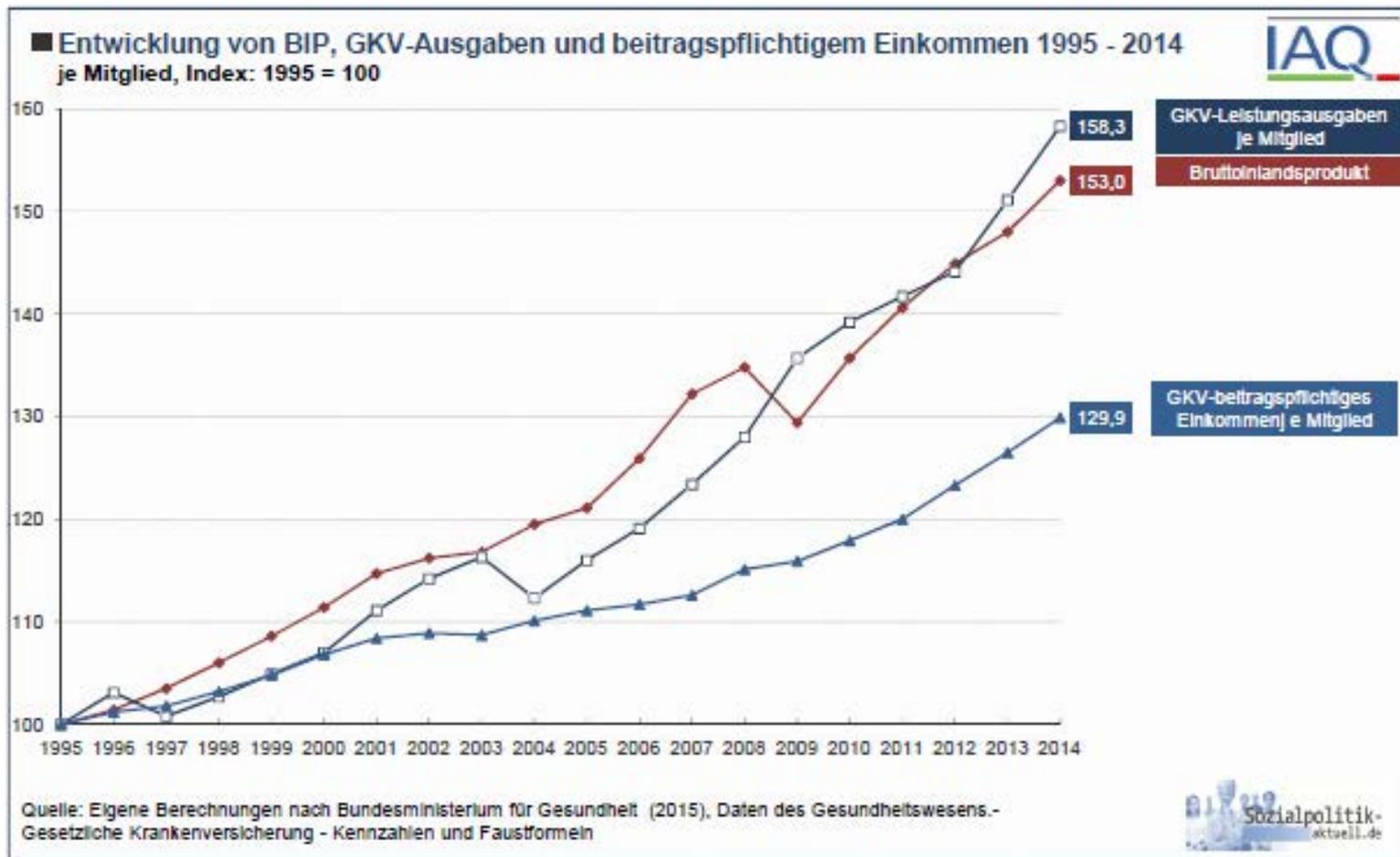
**PharmaForum 2018 –
Pharma trifft Medizintechnik
am 08.03.2018 in Saarbrücken**

GKV-Ausgaben und Beitragssatzentwicklung



Quelle: Institut Arbeit und Qualifikation der Universität Duisburg-Essen

GKV-Ausgaben und beitragspflichtige Einnahmen

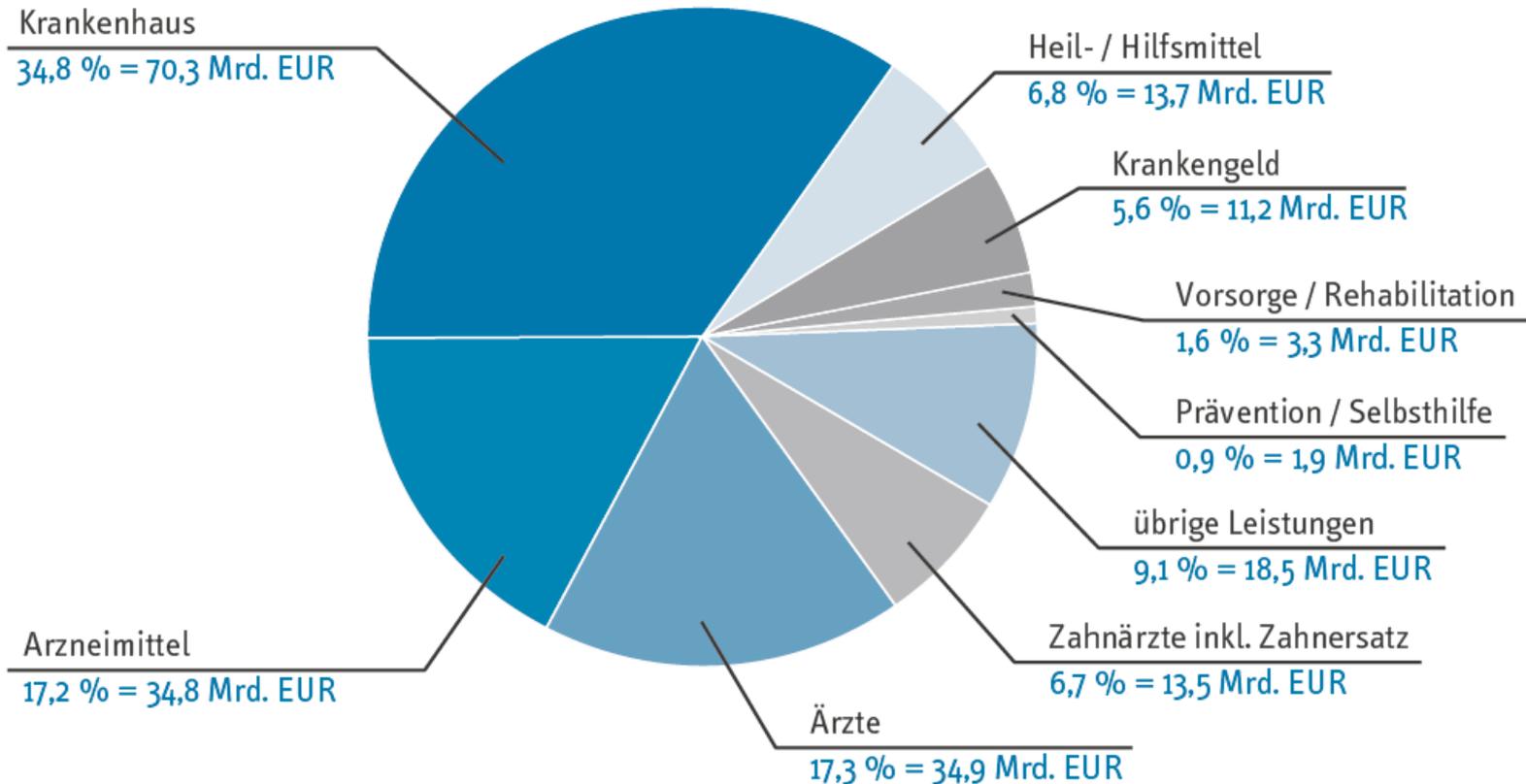


Quelle: Institut Arbeit und Qualifikation der Universität Duisburg-Essen



GKV-Leistungsausgaben 2015 in Mrd. € und Anteil in Prozent

GKV-Leistungsausgaben: 202,0 Milliarden EUR



Quelle: VDEK 2016/2017 Basisdaten des Gesundheitswesens.

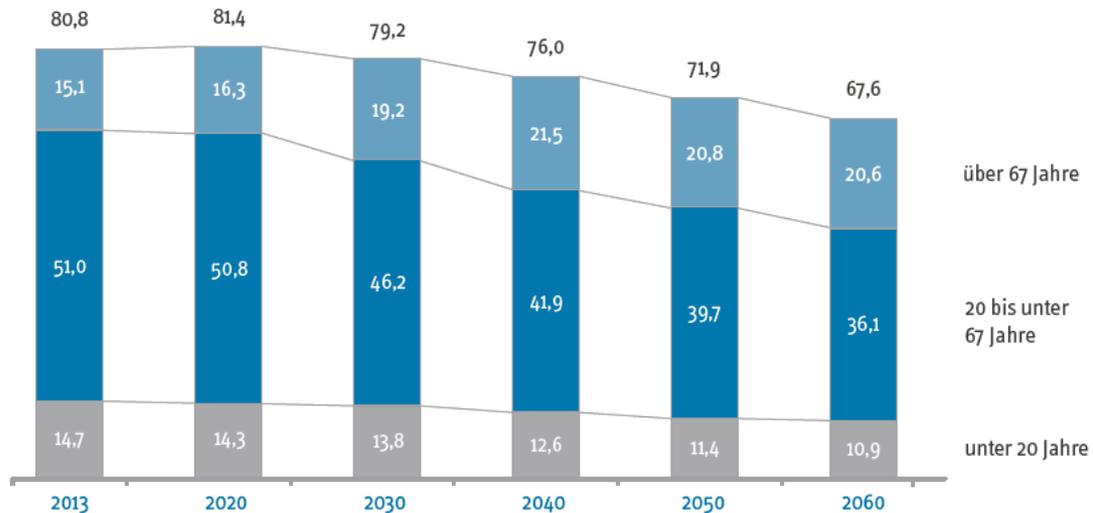


Herausforderungen: Demographie

Bevölkerungsentwicklung und Altersstruktur

nach Altersgruppen in Millionen

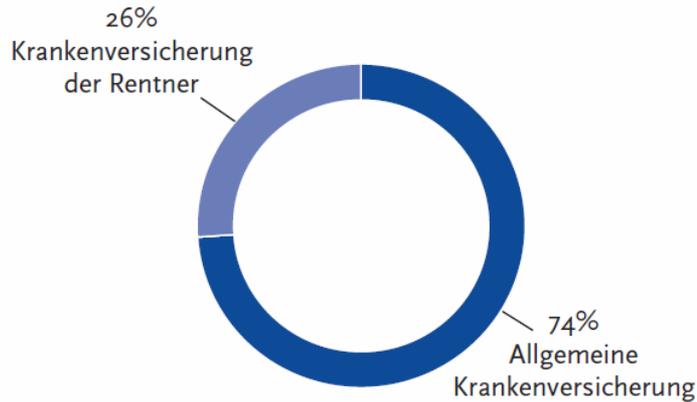
2013 – 2060, Bundesgebiet



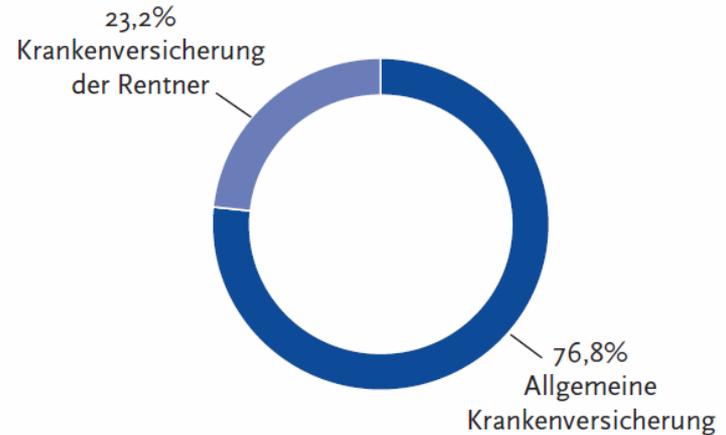
Quelle: VDEK 2016/2017 Basisdaten des Gesundheitswesens nach StBA13, koordinierte Bevölkerungsvorausberechnung.

Generationensolidarität in der Gesetzlichen Krankenversicherung (2006)

Versicherte

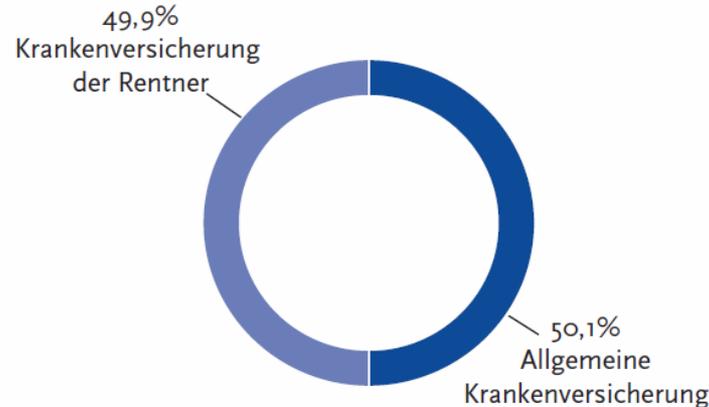


Beitragseinnahmen



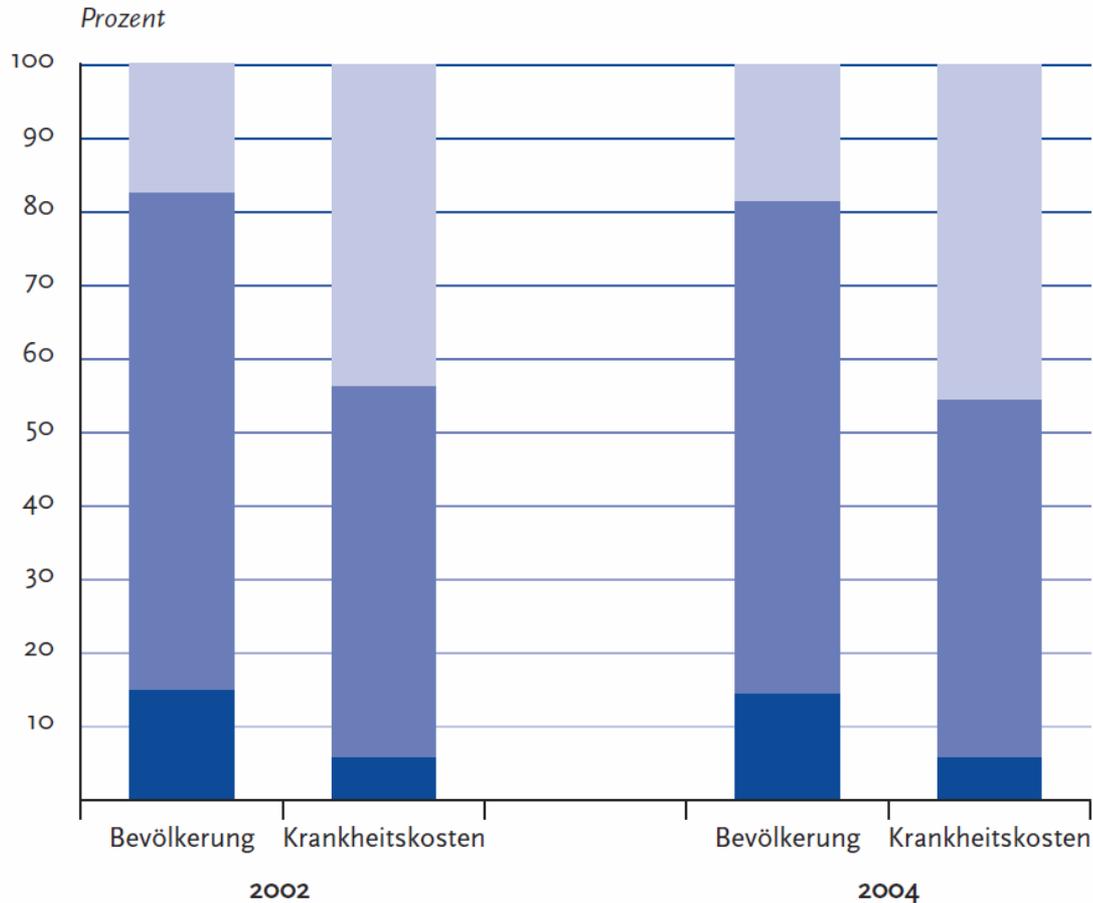
**Alte Zahlen,
Tendenz aber
nach wie vor
richtig!**

Leistungsausgaben



Quelle: BMG, GKV-Statistik KJ1

Bevölkerung und Krankheitskosten nach Alter 2002 und 2004



**Alte Zahlen,
Tendenz aber
nach wie vor
richtig!**

65 Jahre und älter
15-64 Jahre
unter 15 Jahre

Quelle: Statistisches Bundesamt, Bevölkerungfortschreibung (Jahresdurchschnitt) und Krankheitskostenrechnung.

Demographie hat in mehrfacher Hinsicht gravierende Folgen:

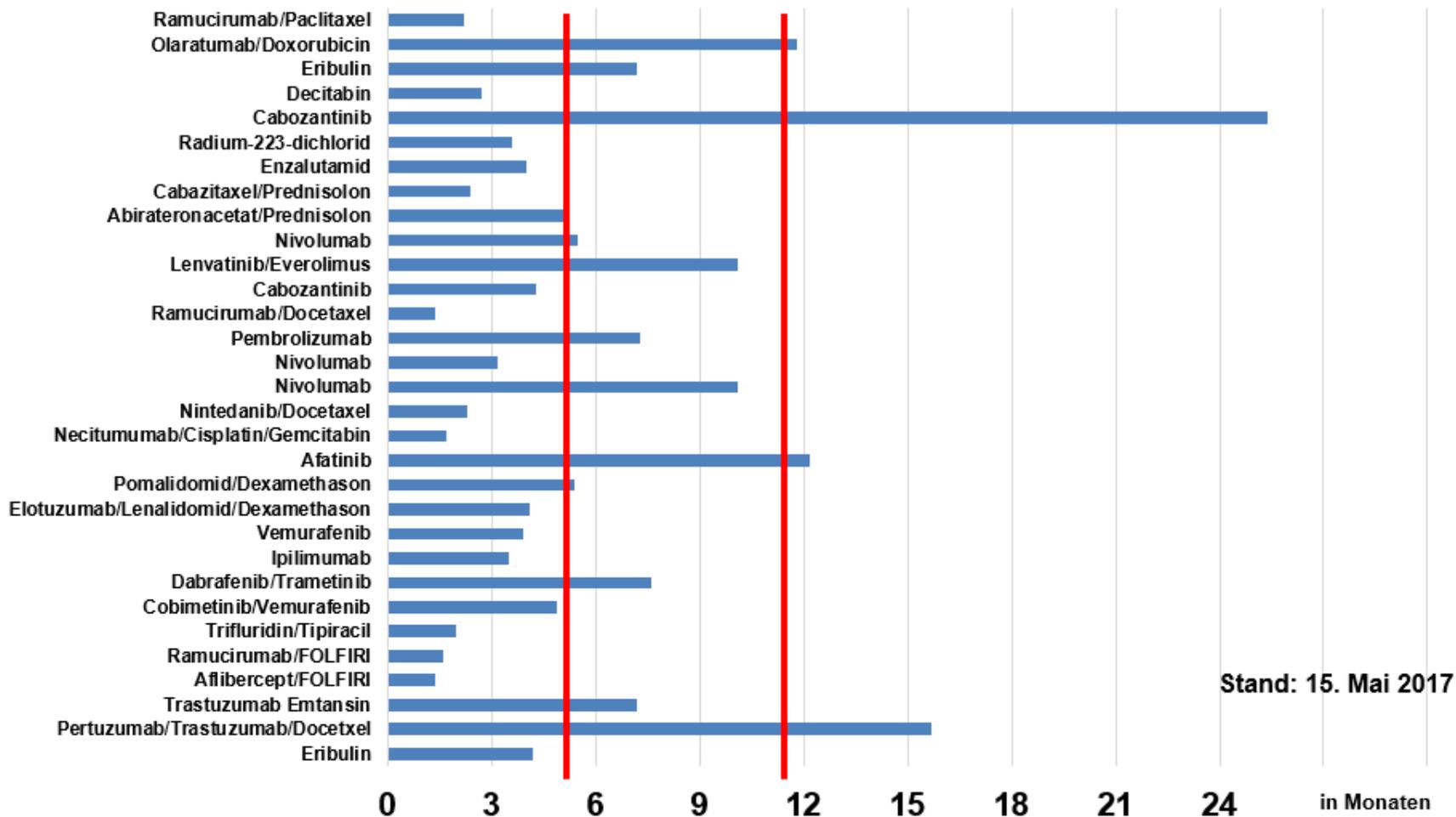
- Patienten werden älter und multimorbider
(Fallzahlen steigen)
 - Wegen niedriger Alterseinkünfte wird die Finanzierung schwieriger
 - Behandlungen werden (gepaart mit medizinisch-technischem Fortschritt) komplexer
(Qualitätsaspekte wichtiger / Entlassmanagement etc.)
-
- Personalgewinnung Pflege und Ärzte wird schwieriger
(Bedarf an mehr Personal bei kleiner werdender Kohorte
im erwerbsfähigen Alter)

Bedarf an
digitalen
Lösungen
und
Delegation,
Substitution



Medizinisch-technischer Fortschritt

Größter Zugewinn im medianen Gesamtüberleben Nutzenbewertungen seit 2011

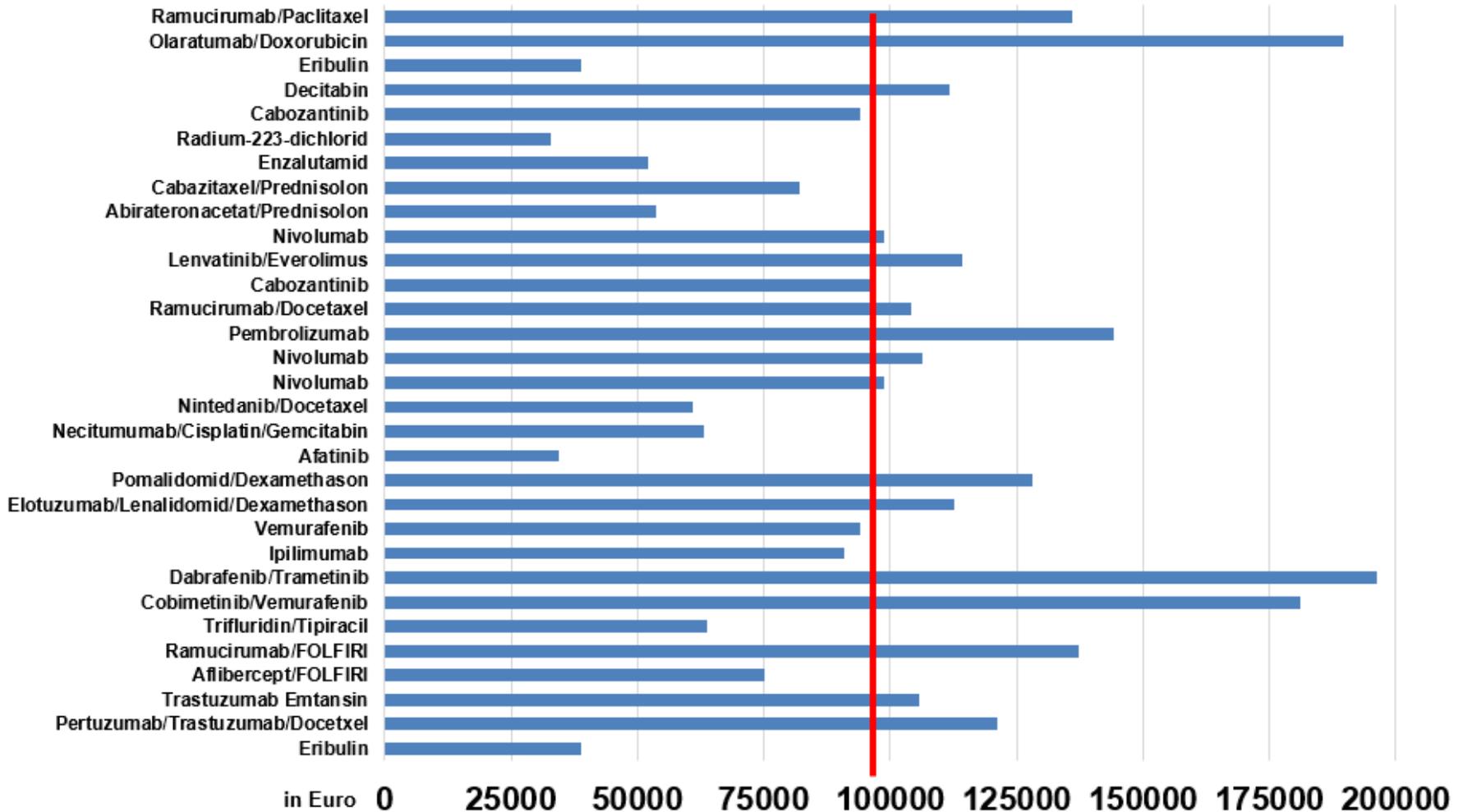


Stand: 15. Mai 2017



Medizinisch-technischer Fortschritt

Jahrestherapiekosten neuer onkologischer Wirkstoffe



Lösungswege:

1) Offene Rationierung über QALYS (GB)

→ Unethisch und nicht dem Sozialstaatsprinzip vereinbar

2) Diskussion über künftigen (höheren) Anteil der Gesundheitsausgaben am BIP

+

- Stringente (abstrakt-generelle) Nutzen- und Methodenbewertung
- Bildung wirtschaftlicher Einheiten
- Gemeinsame Betrachtung ambulanter und stationärer Bedarfsplanungen
- Qualitätssicherung mit stärkerem Augenmerk auf Diagnose- und Indikationsqualität (siehe: TAVI)
- Stärkere (konkret-individuelle) Betrachtung der Lebensqualität und des patientenindividuellen Value bei Therapieentscheidung

Zentrale Fragen:

- **Dürfen wir immer alles tun, was wir können?**
(z.B. Gendiagnostik ohne Therapiemöglichkeiten)
- **Müssen wir immer alles tun, was wir dürfen?**
(z.B. maximalinvasive Interventionen in End-of-life-Situationen statt watchfull waiting oder best supportive care?)
- **Gibt das (Finanzierungs-)System die richtigen Anreize für am Patientenwohl orientierte Therapieentscheidungen?**
(Maximalinvasive Interventionen werden auch in End-of-life-Situationen ohne Probleme vergütet, niedrighschwellige Versorgung – best supportive care, Palliativversorgung, allgemeine Stabilisierung – verursacht hingegen Vergütungsprobleme).



Zugang von Innovationen in die Regelversorgung des SGB V

Kernvorschrift: Wirtschaftlichkeitsgebot § 12 SGB V

- ausreichend (streitig ob Minimal- oder Maximalstandard garantiert)
- wirtschaftlich
- zweckmäßig
- das Maß den Notwendigen nicht überschreitend

Arzneimittel



§35a (AMNOG)

Frühe Nutzenbewertung parallel zum Markteintritt (vergleich mit zVt)

Methoden (Medizinprodukte)



Stationär

Verbotsvorbehalt (§137c SGB V)
(Ausnahme § 137h SGB V)



Ambulant

Erlaubnisvorbehalt (§135 SGB V)
(d.h. regelhafte Methodenbewertung oder Erprobung nach § 137e SGB V)

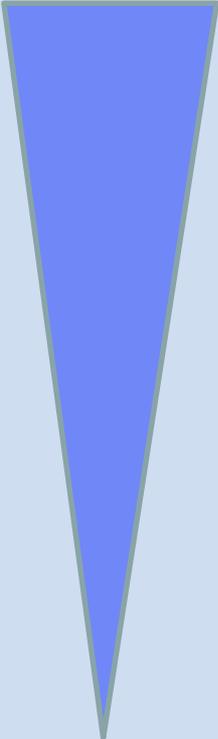
Neue Regelungen für digitalen Medizinprodukte notwendig? (Arztvorbehalt, Algorithmen etc.)

§ 35a AMNOG

- Mittlerweile etabliertes und weitgehend streitfreies Verfahren, das dem Grunde nach nicht mehr in Frage gestellt wird.
- **Lernendes System:**
 - Erweiterung der Auswahlmöglichkeiten zVT (Problem: OLU)
 - Gemeinsame (frühe) Beratung von Phase-III-Studien auf EMA- oder BfArM-/PEI-Ebene (Problem: PFS als Endpunkt)
 - Flexibilisierung § 130b „Erstattungsbetrag“ (soll statt darf)
 - Evidenztransfers bei PUMA-Arzneimitteln
(Problem: AWG-Erweiterungen)
 - Zusammenfassung von Dossiers bei AWG-Erweiterungen
 - „unechtes“ Clock-Stop bei Unvollständigkeit
 - partielle Verordnungsausschlüsse (PCSK-9-Inhibitoren)



Viele andere hochentwickelte Gesundheitssysteme haben lange vor Deutschland Nutzenbewertungsregime eingeführt

Staatl. Einflussnahme	Preisbildung	Instrumente der Preisbildung	Schlüsselländer	
	Gesundheitsökonomische Bewertung	Kosten-Effektivität; Kosten-Nutzen	Australien, Kanada, Korea, Schweden, Vereinigtes Königreich	
	Basiert auf therapeutischer Bewertung	Komparatorbasierte Bewertung/ Referenzkategorien	Frankreich, Deutschland, Italien, Spanien, Japan	
	Versicherungsbasierte Verhandlung 	Vertragsbildung i. R. d. Versicherungsmarktes	USA  Auf dem Weg nach oben ? 	
	Karen Ignagni (EO of America's Health Insurance Plans) appeared to suggest a need to assess as standard the cost versus the effectiveness of every new treatment, which would be a move towards the use of cost-effectiveness health technology assessments used in Europe (APM NEWS 22.5.2014)			
	Weitgehend freie Preisbildung	Direkt zahlende Patienten	Brasilien, Russland, Indien, China, Mexico	

Quelle: Eigene Darstellung nach ZNS Associates, 2013

AMNOG international kein Sonderweg

Nutzenbewertung patentgeschützter Arzneimittel

- 1) kein Tabubruch im internationalen Vergleich
- 2) kein Widerspruch zur arzneimittelrechtlichen Zulassung

Zulassung beurteilt

- Sicherheit
- Wirksamkeit
- Qualität

AMNOG beurteilt darüber hinaus

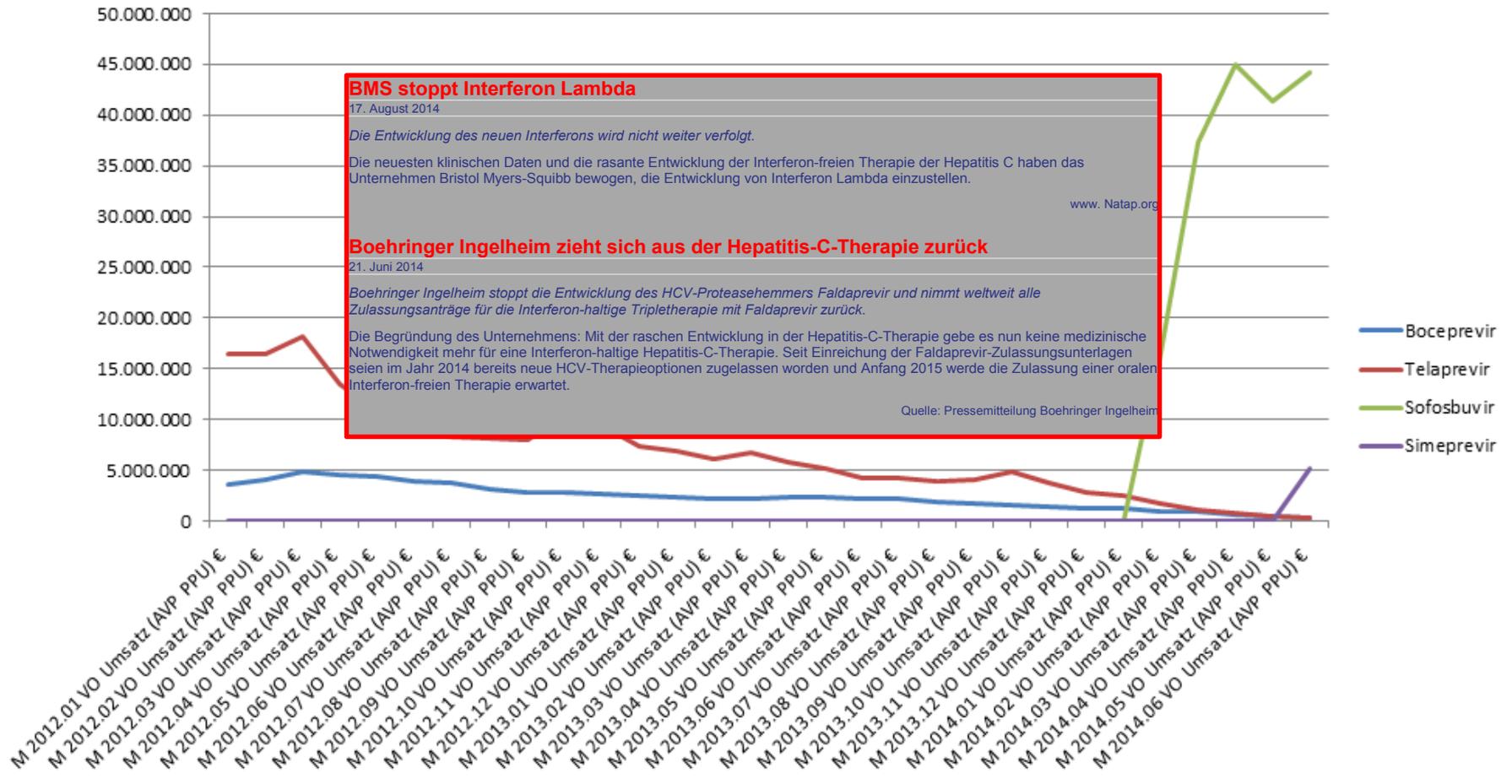
- *Mehrwert gegenüber anderen Therapieoptionen*

- 3) keine rein gesundheitsökonomische Bewertung (wie z. B. in GB) sondern komparatorbasierte Bewertung ohne Kostenobergrenze (vgl. Frankreich, Japan, Spanien, Italien)



AMNOG schützt nicht vor Marktentwicklung

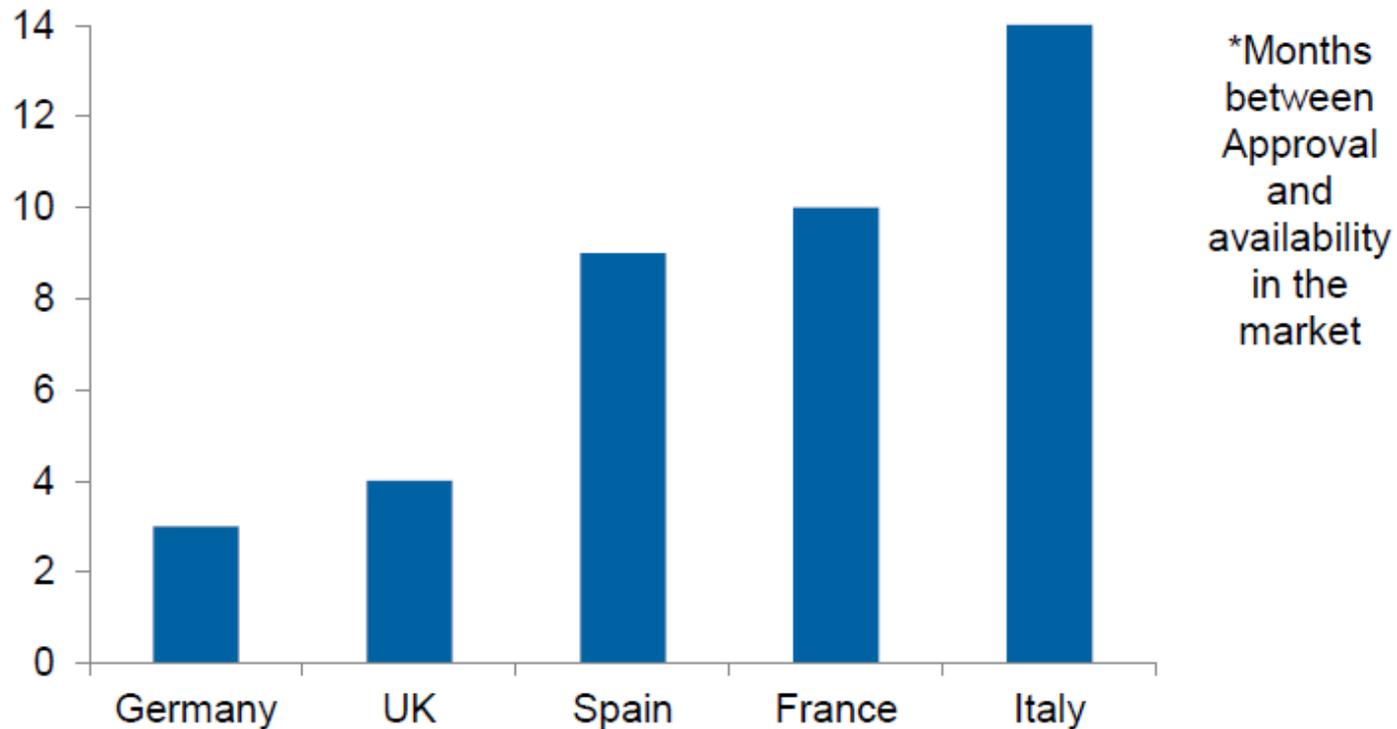
Arzneimittel zur Behandlung der Hepatitis C Umsatz AVP (gemäß Hersteller) Januar 2012 - Juni 2014



Das AMNOG behindert nicht die Markteinführung



Challenge 1: Late to Market



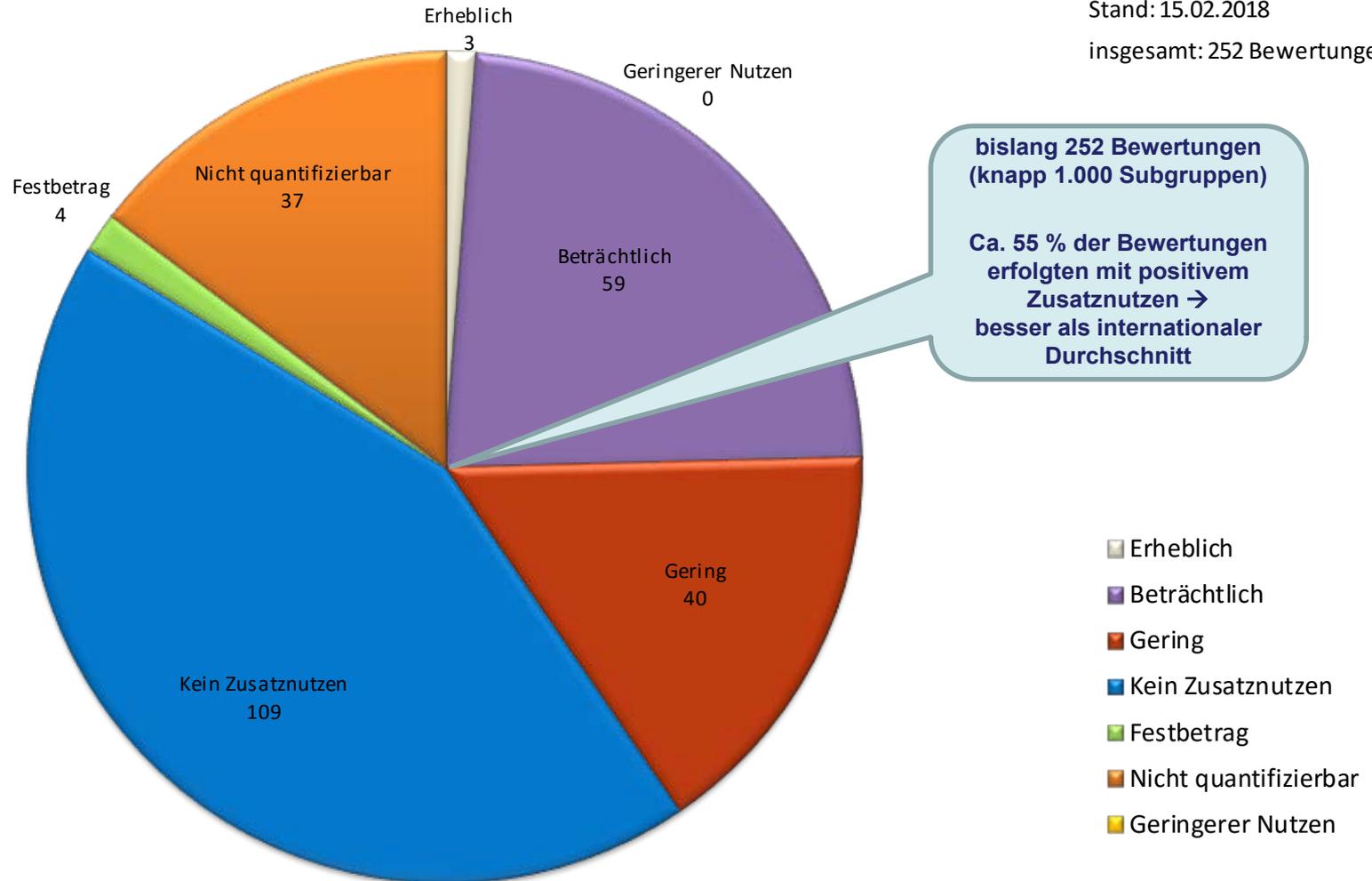
Source: *IMS 2014



Das AMNOG erfüllt seinen Zweck (Stand 15.02.2018)

Höchste Zusatznutzenkategorie je Verfahren nach § 35a SGB V

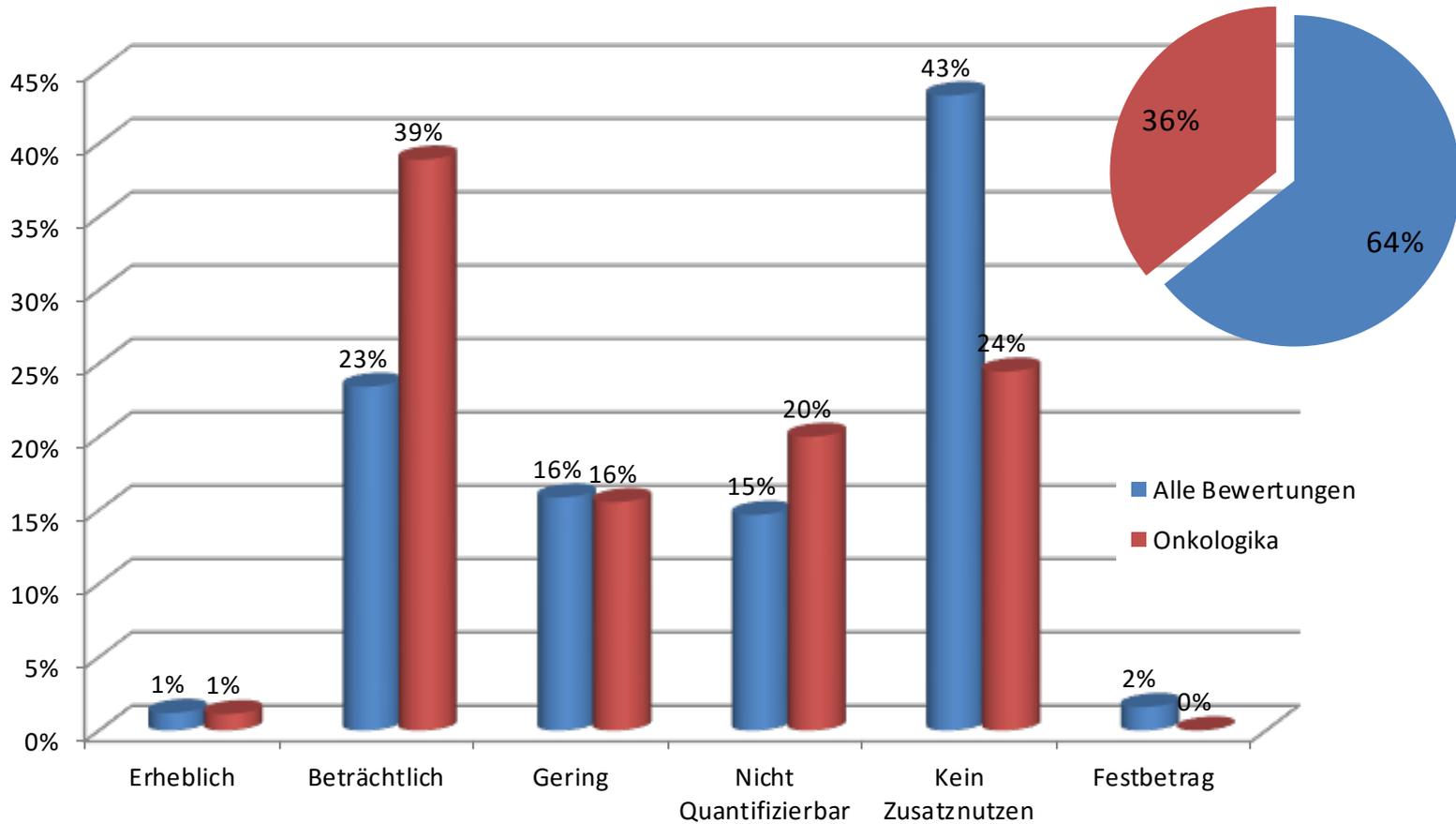
Stand: 15.02.2018
insgesamt: 252 Bewertungen



Onkologische Wirkstoffe im Verfahren nach § 35a SGB V (Stand 15.02.2018)

Ergebnisse (höchste Kategorie)	Anzahl	Anteil unter bisher abgeschlossenen
Nicht quantifizierbar	18	20%
beträchtlich	35	39%
erheblich	1	1%
gering	14	16%
kein Zusatznutzen u.a. weil inhaltlich unvollständig oder kein Dossier eingereicht	22	24%
Gesamtzahl	90	100%

Ergebnisse der Nutzenbewertungen im Vergleich (Stand 15.02.2018)



Klinische Entwicklung in der Onkologie – Ausgabentrends

Trends:

1. **Personalisierung, Stratifizierung:** neue Wirkstoffe in kleineren Subgruppen der Erkrankung wirksam. Preisniveau in diesen Subgruppen stetig ansteigend.
2. **Chronifizierung und Sequenztherapie:** Erkrankung kann durch Dauertherapie und Therapiewechsel bei Resistenzbildung kontrolliert werden.
3. **Kombinationstherapie:** unterschiedliche Therapieprinzipien werden nach individueller Tumorsensitivität kombiniert.

Alle Trends führen tendenziell zu Ausgabensteigerungen bei onkologischen Arzneimitteln in der GKV (*Preisniveau steigt, neue Indikationen, verlängerter und kombinierter Einsatz*)

Ausblick: mögliche regulatorische Lösungsansätze

1. Problem fehlender oder nicht ausreichende Evidenz:

- Etablierung valider prospektiver klinischer Register
- Erfassung wichtiger Endpunkte, insbesondere auch Lebensqualität und Symptomatik in der palliativen Phase
- Erhöhung der Mitverantwortung (organisatorisch, finanziell) der pharmazeutischen Unternehmen für die Evidenzgenerierung in der Post-Marketing-Phase bei Produkten mit beschleunigter Zulassung
- Bessere Koordination zwischen HTA & EMA sowie Sanktionen bei Nichterfüllung von Evidenzauflagen

2. Problem Kombinationstherapien

- Geeignete Rabattierungsmodelle für Kombinationstherapien

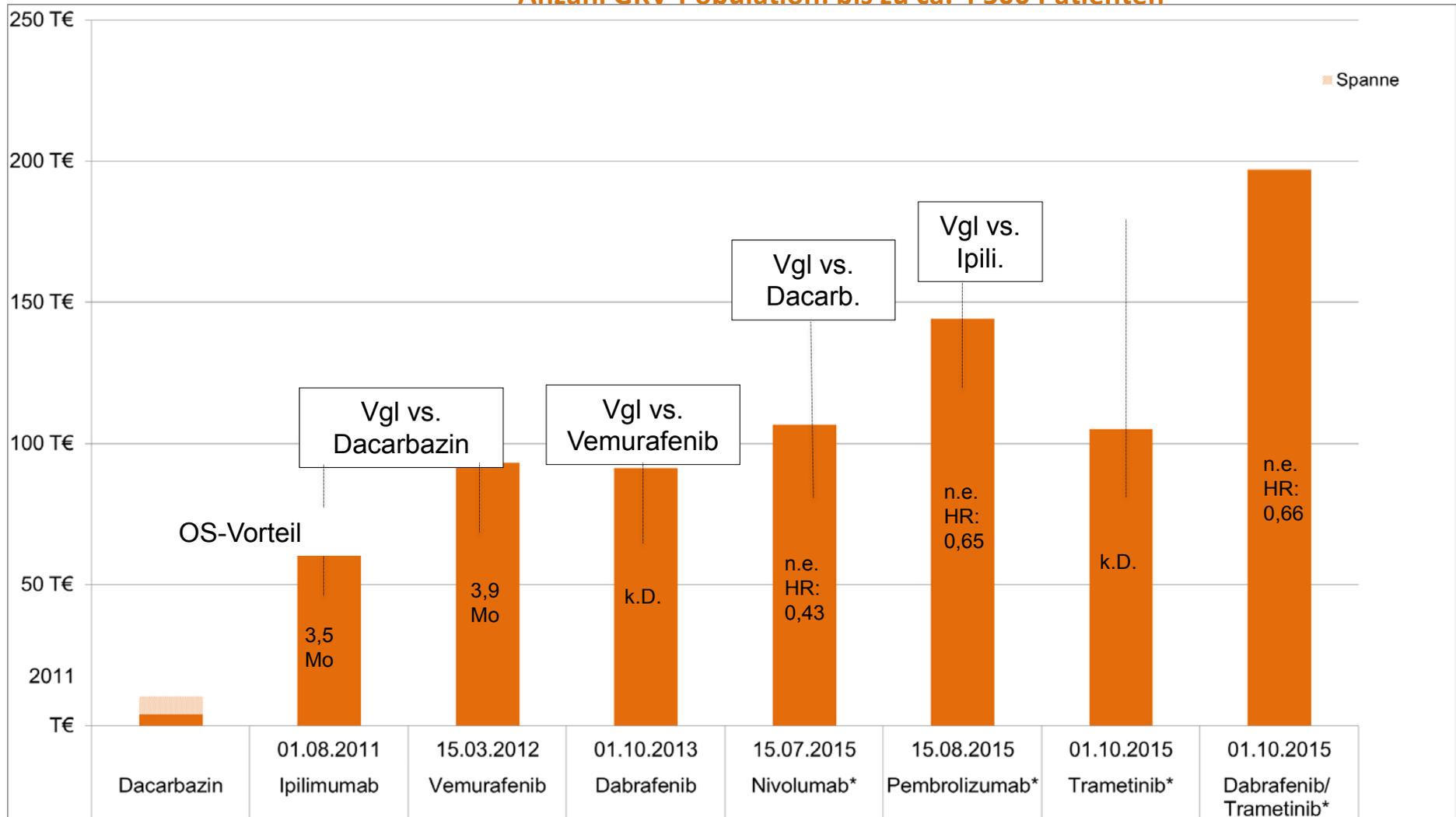
3. Chronifizierung und Dauertherapie

- Anpassung des Erstattungsniveau an chronische Behandlungssituation



Jahrestherapiekosten metastasiertes Melanom

Anzahl GKV-Population: bis zu ca. 4 500 Patienten



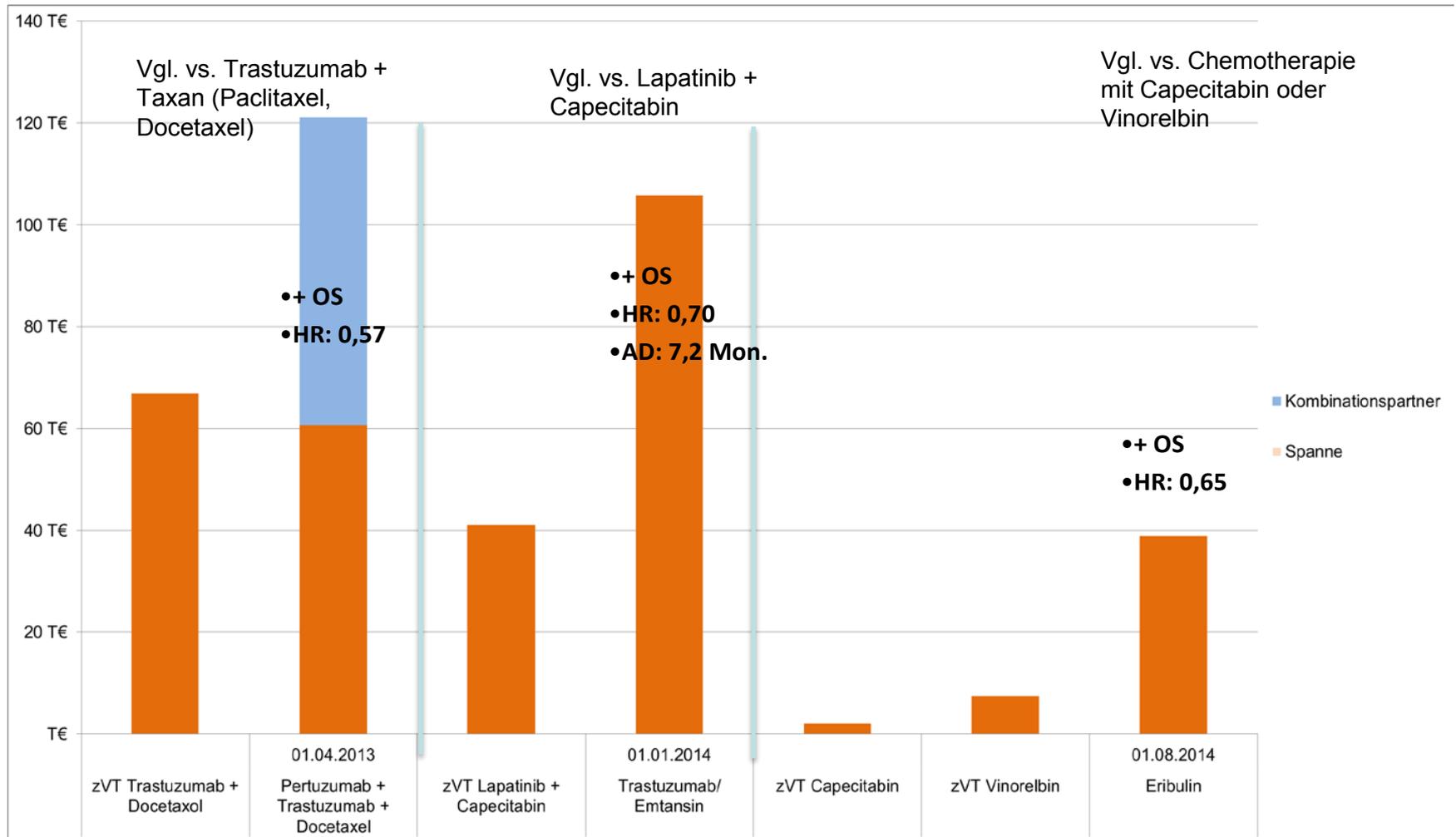
•vs. = versus, OS = Gesamtüberleben, k.D.= keine Daten, n.e.= nicht erreicht; Mo = Monate, HR Hazard Ratio;

• * Erstattungsbeitrag noch nicht verhandelt; ¹ Beschlussfassung steht noch aus; (ggf. weitere Vorteile in weiteren Endpunktkategorien, dargestellt nur OS-Vorteil)



Jahrestherapiekosten metastasierter Brustkrebs

Anzahl GKV-Population: bis zu ca. 7 600 Patienten



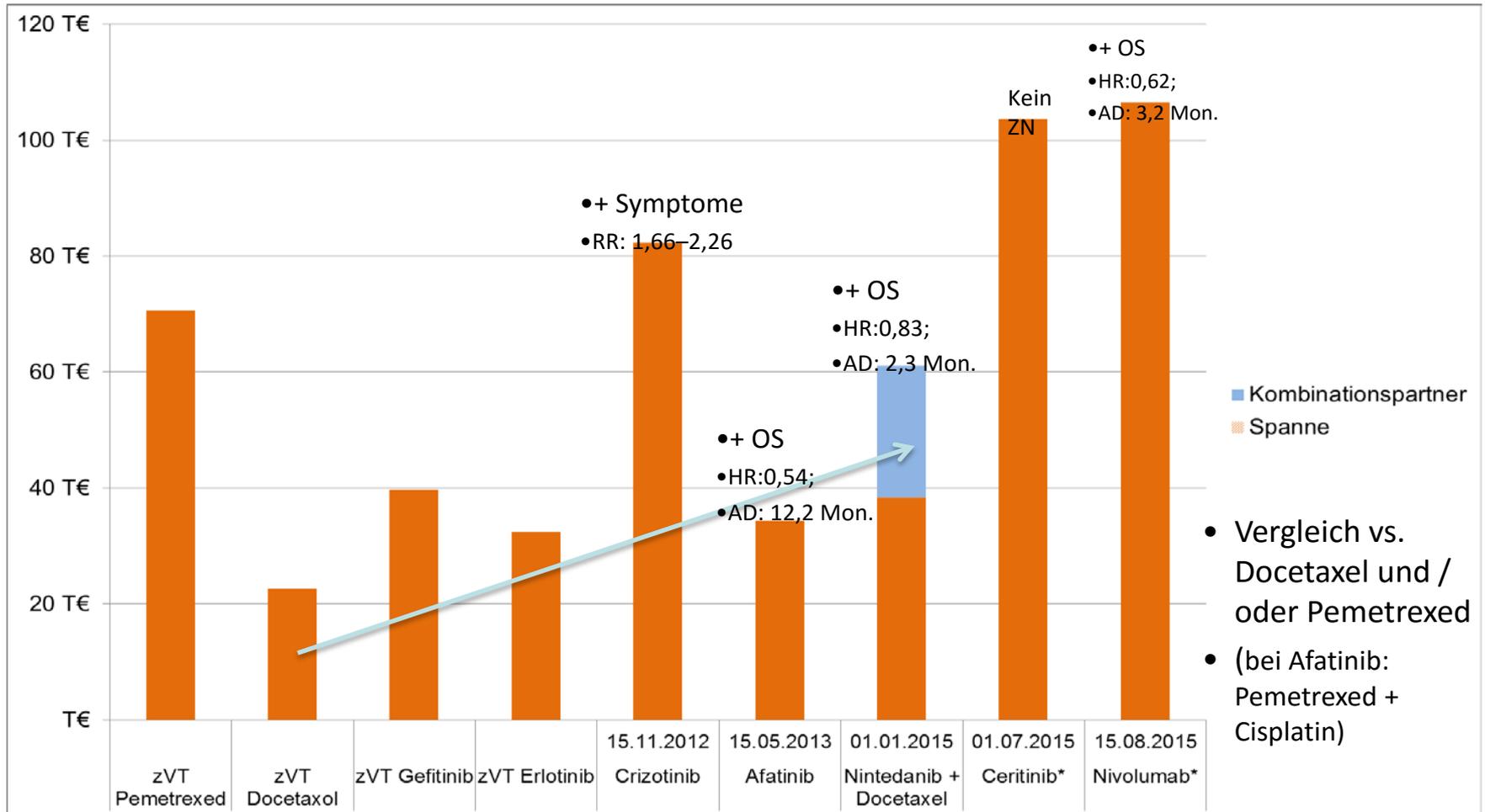
•vs. = versus, OS = Gesamtüberleben, k.D.= keine Daten, n.e.= nicht erreicht; Mo = Monate, HR Hazard Ratio;

• * Erstattungsbetrag noch nicht verhandelt; ¹ Beschlussfassung steht noch aus; (ggf. weitere Vorteile in weiteren Endpunktkategorien, dargestellt nur OS-Vorteil)



Jahrestherapiekosten Lungenkarzinom

Anzahl GKV-Population: bis zu ca. 15 000 Patienten



• vs. = versus, OS = Gesamtüberleben, k.D.= keine Daten, n.e.= nicht erreicht; Mo = Monate, HR Hazard Ratio;

• * Erstattungsbetrag noch nicht verhandelt; ¹ Beschlussfassung steht noch aus; (ggf. weitere Vorteile in weiteren Endpunktkategorien, dargestellt nur OS-Vorteil)



Kritische Wertung von Therapieerfolgen: Beispiel Krebserkrankungen

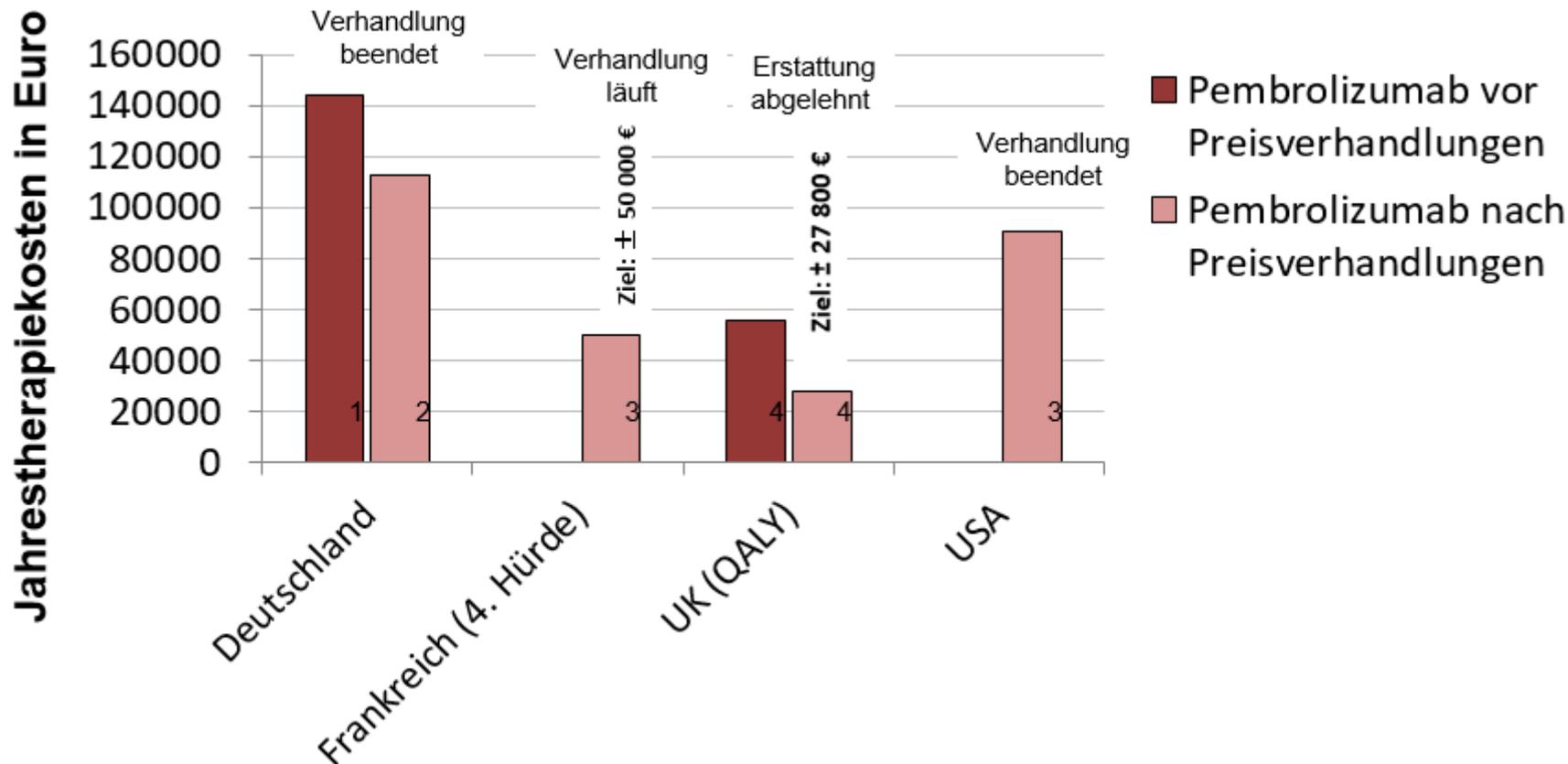
Die **Chronifizierung** einer fortgeschrittenen Krebserkrankung ist bisher ein **Ausnahmefall**.

Allerdings erfolgt die Therapie zahlreicher Krebserkrankungen vom Zeitpunkt der Erstdiagnose an in aufeinanderfolgenden Therapielinien.

Ergebnisse der Nutzenwertung des GBA zeigt, dass häufig nur in **Subgruppen** eine klinisch relevante Verlängerung der Überlebenszeit von meist **unter sechs Monaten** erreicht (bei allerdings sehr hohen zusätzlichen Therapiekosten).

Preisniveau für onkologische Wirkstoffe in Deutschland trotz AMNOG weiterhin hoch im internationalen Vergleich:

Beispiel Pembrolizumab (Melanom)



¹ Beschluss vom 4. Februar 2016; Anhaltspunkt für einen beträchtlichen Zusatznutzen gegenüber Ipilimumab und Hinweis auf einen beträchtlichen Zusatznutzen gegenüber einer patientenindividuellen Therapie nach Maßgabe des behandelnden Arztes (Ipilimumab)

² Auf Basis der Angaben der Lauer-Taxe zum Erstattungsbetrag (gemäß § 78 Abs. 3a AMG; rechnerisch auf ein Jahr standardisiert)

³ <http://www.apmhealthurope.com>; Merck & Co aiming to make Keytruda available in France 'as soon as possible'; 13. Oktober 2016

⁴ <http://www.apmhealthurope.com>; UK's NICE rejects MSD's Keytruda in advanced lung cancer; 4. Oktober 2016

§ Kosten pro QALY > 50 000 £ (> 55 550 €)

Kostengrenze pro QALY: 20 000 - 30 000 £ (22 255 - 33 383 €)



Lebensqualität künftig gleichgewichtig ?

Klinische Studien oft zu kurz für LQ Ergebnis

LQ-Daten oft schlecht

Valide Messinstrumente sind komplex

Progressionsfreies Überleben dominiert

Systematische Einplanung in Studiendesign erforderlich

Morbidität
Mortalität

Lebensqualität



Arztinformationssystem

Grundsatzentscheidung:

nur Hinweischarakter zur Unterstützung
einer autonomen AM-Therapieentscheidung
des Arztes

oder

(in der Regel) bindende Vorgabe



Allgemeines, gesetzliche Grundlage

- Mit dem HHVG wurden die neuen Absätze 9 und 10 in den § 73 SGB V eingefügt.
- Absatz 9 neu regelt die Voraussetzung für die Verwendung von **elektronischen Programmen zur Verordnung von Arzneimitteln** in der vertragsärztlichen Versorgung mit :
 - Angaben zu **Inhalten, die elektronische Programme** in der vertragsärztlichen Versorgung künftig haben müssen und
 - Vorgaben, dass Beschlüsse des G-BA zur **Nutzenbewertung abgebildet** werden müssen.
 - Einer **Verordnungsermächtigung für den BMG**, die ihm die Möglichkeit gibt, Details zu den Abbildungen der Nutzenbewertung zu regeln und bei Bedarf weiterzuentwickeln sowie zu definieren, in welcher Form Vorgaben zu Hinweisen zur Wirtschaftlichkeit der Verordnung von Arzneimitteln im Vergleich zu anderen Therapiemöglichkeiten zu machen sind.

Ziel des AIS

Gewährleistung, dass Nutzenbewertungsbeschlüsse des G-BA auf der Basis des § 35a SGB V

- sehr **schnell auch in der Breite** der vertragsärztlichen Versorgung **bekannt** werden und
- **Wirkungen im Verordnungsgeschehen entfalten**, denn hier sind auch über fünf Jahre nach Inkrafttreten des AMNOG u.a. wegen ihrer Vielzahl noch erhebliche Informationsdefizite vor allem bei den Ärzten vorhanden, die keine spezialisierte Versorgung betreiben und demzufolge selbstverständlich nicht so intensiv die wissenschaftlichen Diskussionen um neue Wirkstoffe verfolgen können

Zentrale Fragen:

1. Charakter der Wirtschaftlichkeitshinweise
2. Informationen zur Indikation
3. Informationen zu den Patientengruppen
4. Informationen zu Ausmaß und Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens
5. Informationen zur qualitätsgesicherten Anwendung



Ad 1: Charakter der Wirtschaftlichkeitshinweise

- Zentrale Frage für die **Ausgestaltung muss** in der noch nicht vorliegenden Rechtsverordnung **geklärt** und exakt definiert werden.
- Gesetzliche **Regelung spricht nur davon, dass BMG Vorgaben zur Abbildung** der für die vertragsärztliche Versorgung geltenden Regelung zur Zweckmäßigkeit und Wirtschaftlichkeit der Verordnung von Arzneimitteln im Vergleich zu anderen Therapiemöglichkeiten **machen kann**.
- **Inwieweit das Bundesministerium in der Rechtsverordnung hier Regelungen trifft, ist derzeit noch völlig offen.**



Ad 1: Charakter der Wirtschaftlichkeitshinweise

Wenn Regelungen getroffen werden, so ist entscheidende Frage, ob

- AIS dem Vertragsarzt **nur detaillierte Informationen** geben soll, auf deren Basis er selbst und **eigenverantwortlich eine Entscheidung über die Zweckmäßigkeit und Wirtschaftlichkeit einer Verordnung trifft, oder**
- ob das **AIS selbst verbindliche Festlegungen** trifft, wann und bei welchen Patientengruppen die Verordnung eines Wirkstoffs zweckmäßig und wirtschaftlich ist.

Wenn Informationen verbindlich für Vertragsärzte gelten andere rechtliche Voraussetzungen und

- es wäre zu prüfen, ob Vertragsärzte durch präzise Wirtschaftlichkeitshinweise gebunden sind und damit faktisch die Wirkungen eines Verordnungsausschlusses für die Subgruppen hätte, für die eine Wirtschaftlichkeit nicht bejaht wird.

Wenn faktische Wirkung bejaht

- Hinweise müssten in formalisiertem Verfahren beschlossen werden, dass eine Anhörung aller potenziell Betroffenen pharmazeutischen Unternehmer ebenso wie der Fachgesellschaften und sonstiger Beteiligter gewährleisten würde.