

Methoden zur Bestimmung von Nutzen bzw. Wert medizinischer Leistungen und ihre ethischen Implikationen

FLORIAN GUTZWILLER¹,
NIKOLA BILLER-ANDORNO³,
CAROLINE HARNACKE³,
LEA BOLLHALDER²,
THOMAS SZUCS¹,
FELIX GUTZWILLER²,
MATTHIAS SCHWENKGLENKS^{1,2}

¹ Institut für Pharmazeutische Medizin (ECPM), Universität Basel, Schweiz

² Institut für Sozial- und Präventivmedizin, Universität Zürich, Schweiz

³ Institut für Biomedizinische Ethik, Universität Zürich, Schweiz

Der Ausbau der Gesundheitssysteme führte in allen Industrieländern zu einer Verbesserung der Gesundheitsversorgung, aber auch zu einem deutlichen Kostenanstieg. Verfügbare Mittel müssen deshalb effizient eingesetzt und der Nutzen von medizinischen Leistungen muss bestimmt und bewertet werden, damit Entscheide über deren Einsatz transparent und fundiert gefällt werden können. Methoden der Nutzenbestimmung und -bewertung, die im Gesundheitswesen zum Einsatz kommen, können in klinisch-epidemiologische, gesundheitsökonomische, rein ökonomische und integrative Methoden (*health technology assessment*, HTA) unterteilt werden. Alle diese Methoden haben ethische Implikationen, die in der Anwendung zu berücksichtigen sind. Angesichts der aktuellen Kostenentwicklung sollten die Potentiale eines modernen und breit abgestützten HTA verstärkt genutzt werden.

Hintergrund

Der vorliegende Beitrag fasst einen ausführlichen Bericht zusammen, der Methoden zur Bestimmung des Nutzens bzw. Werts medizinischer Leistungen sowie deren Anwendung in ausgewählten europäischen Ländern beschreibt. Dieser Bericht wurde im Auftrag der Akademien der Wissenschaften Schweiz erstellt und Ende März 2012 an einer Tagung vorgestellt; er kann auf der Webseite der Akademien (www.akademien-schweiz.ch/index/Publikationen/Berichte.html) online abgerufen werden.

In den letzten Jahrzehnten erlebten die Bevölkerungen in den Industrieländern eine stetige Verbesserung der Gesundheitsversorgung und eine Steigerung von Lebenserwartung und Lebensqualität, mit bedingt auch durch Entwicklungen in den Bereichen der Technik, Hygiene, Ernährung und Verkehrssicherheit sowie des Umweltschutzes. Gleichzeitig stiegen die im Gesundheitswesen aufgewendeten finanziellen und personellen Ressourcen stark an. Aktueller denn je stellt sich die Frage, wie viele Ressourcen eine Volkswirtschaft dem Gesundheitssektor zukommen lassen kann und will. Darüber hinaus muss entschieden

werden, wie diese Ressourcen innerhalb des Gesundheitssektors verteilt werden sollen und wie das Gesundheitssystem nachhaltig finanziert und effizient und wirksam gestaltet werden kann (Anon. 1998; Caplan 2011; Congressional Budget Office 2007; Deutscher Ethikrat 2011). Rationalisierung sollte primär über Massnahmen, welche keine Leistungs- oder Qualitätseinbußen mit sich bringen, und über die Eliminierung von Ineffizienzen erfolgen. Erst wenn diese Möglichkeiten ausgeschöpft sind, sollten Leistungseinschränkungen zur Kostenkontrolle in Betracht gezogen werden. Vorausgehen muss eine Nutzenbestimmung, um Entscheidungen für oder gegen medizinische Leistungen¹ eine fundierte, transparente Grundlage zu geben (Mckie *et al.* 2011). Die Bewertung sollte die Perspektiven der Patienten, der Medizin und der Ökonomie sowie ethische und rechtliche Aspekte berücksichtigen.

Methoden

Die benötigten Informationsquellen wurden, soweit nicht bereits bei den Autoren vorhanden, mittels ausführlicher Literatur- und Internet-Recherchen identifiziert und gesammelt. Dabei wurden Suchstrategien mit dem Ziel definiert, möglichst wenig selektiv alle relevanten Aspekte abzubilden. Ausserdem wurden leitfadengestützte Experteninterviews durchgeführt.

Bei der Extraktion und Zusammenstellung der relevanten Informationen wurde versucht, bei sinnvoller Beschränkung eine möglichst umfassende und ausgewogene Darstellung zu erreichen. Es wurde nach dem Prinzip der Saturierung vorgegangen, das heisst die Recherchen zu einem bestimmten Gegenstand wurden so lange fortgesetzt, bis keine neuen Aspekte mehr auftauchten (Corbin *et al.* 1996).

Resultate

Auf verschiedenen Ebenen und aus verschiedenen Perspektiven stellen sich im Gesundheitswesen Fragen der Bestimmung des Nutzens und Werts von medizinischen Leistungen. So haben Patienten, gesunde Leistungsempfänger, Angehörige, Leistungserbringer und die Industrie jeweils ihre spezifischen Interessen und setzen andere Schwerpunkte.

Kosten-Nutzen-Überlegungen, welche sowohl medizinische als auch ökonomische Evidenz berücksichtigen, gewinnen dabei immer mehr an Bedeutung (Brazier *et al.* 2007; Owens *et al.* 2011). Die erforderlichen Informationsgrundlagen für informierte Entscheidungen werden im Rahmen von *Health Technology Assessments* (HTA) erarbeitet, welche neben klinisch-epidemiologischen und gesundheitsökonomischen Elementen immer auch ethisch-moralische, gesellschaftlich-kulturelle und juristische Aspekte berücksichtigen oder berücksichtigen sollten. Dadurch soll potentieller Nutzen schnell bei den Patienten ankommen, es sollen innovative Technologien gefördert und die Kosten kontrolliert werden. Moderne, multidisziplinär ausgerichtete Definitionen von HTA geben dieses Nebeneinander verschiedener Gegenstandsbereiche wieder. Im Rahmen des EU-Projekts EUnetHTA wird HTA definiert als »a multidisciplinary process that summarizes information about the medical, social, economic and ethical issues related to the use of a health technology in a systematic, transparent, unbiased, robust manner« (EunetHTA 2007).

Methoden der Nutzenbestimmung

1. Klinisch-epidemiologische Methoden der Nutzenbestimmung

Als klinisch-epidemiologische Ansätze der Nutzenbestimmung sind die *klinische Einschätzung und klinisches Erfahrungswissen* ohne formale wissenschaftliche Evaluation, insbesondere aber die klinische und epidemiologische Forschung zu benennen. Es erfolgt eine Beurteilung der Wirksamkeit und Sicherheit von medizinischen Leistungen sowie ihrer praktischen Relevanz für den klinischen Alltag. Die Beurteilung erfolgt durch Wissenschaftler und Fachpersonen im Gesundheitswesen mit Betroffenen und ihren Angehörigen als Adressaten. Dabei ist anzumerken, dass viele medizinische Leistungen, welche in der klinischen Praxis erbracht werden, nie wissenschaftlich evaluiert wurden.

In der *klinischen Forschung* kommt randomisierten und kontrollierten klinischen Studien (*randomised controlled trials*, RCTs) an definierten Patientenpo-

pulationen eine zentrale Rolle zu. Eine systematisierte Beurteilung der Evidenzlage unter Berücksichtigung der Ergebnisse der zu einem Gegenstand vorliegenden Einzelstudien (evidenzbasierte Medizin) kann Entscheidungen von Patienten und Ärzten sowie die Entwicklung von Guidelines unterstützen. Die Bedeutung der evidenzbasierten Medizin als Methode der Nutzenbestimmung wurde in den geführten Experteninter-

Viele in der klinischen Praxis erbrachten medizinischen Leistungen sind nie wissenschaftlich evaluiert worden.

views stark betont. Als Nachteil wird das Fehlen einer gemeinsamen Metrik gesehen, welche einen direkten Vergleich verschiedener medizinischer Leistungen und eine Aussage über den konkreten Nutzen einer einzelnen Intervention erlauben würde (Interviewpartner 2011). Allerdings eignen sich nicht alle Fragestellungen gleich gut für RCTs; auch sind die Interessen an der Beantwortung unterschiedlich ausgeprägt. Aus ethischer Perspektive zeigt sich daher die Gefahr einer Verschiebung von Ressourcen zugunsten von Interventionen, für welche leicht hochrangige Evidenz zu generieren ist.

Die klinische Forschung beschäftigt sich in letzter Zeit auch vermehrt mit der Wirkung medizinischer Leistungen in realen Versorgungssituationen. Hierauf liegt auch der Schwerpunkt der *comparative effectiveness research*, welche sich mit der vergleichenden Bewertung von medizinischen Leistungen in der klinischen Praxis und der Bestimmung des Zusatznutzens befasst (Cohen *et al.* 2010). Letzterer lässt sich als messbare Effekte einer Intervention im Vergleich zum etablierten Behandlungsstandard verstehen, die zu einer mehr als geringfügigen Verbesserung der Prognose, der Symptomatik oder der Lebensqualität führen (Windeler 2006). Der »relevante Zusatznutzen« eines neuen Medika-

¹ Der Begriff »medizinische Leistungen« umfasst im vorliegenden Sachzusammenhang das gesamte Leistungsspektrum (ärztliche, pflegerische und therapeutische Leistungen) im Gesundheitswesen.

ments im Vergleich zum Behandlungsstandard dient beispielsweise, zusammen mit dem Innovationsgrad, in Frankreich und Deutschland als Kriterium der Preisbildung.

2. Nutzenbewertung durch Betroffene

Patienten bzw. gesunde Klienten des Gesundheitssystems sowie deren Angehörige bestimmen und bewerten den Nutzen medizinischer Leistungen individuell auf Grundlage der Ihnen vorliegenden Informationen, ihrer Einschätzungen und Präferenzen. Aus ethischer Perspektive wurde oft gefordert, patientenrelevante Endpunkte (wie bspw. Überlebensdauer, Lebensqualität) in wissenschaftlichen Studien aufzuwerten, doch erfolgt die Umsetzung dieser Forderung noch immer erst in Ansätzen. Eine der methodischen Schwierigkeiten besteht darin, dass in Abhängigkeit von persönlichen Erwartungen bspw. hinsichtlich der restlichen Lebenserwartung die Bewertung gleicher klinischer Ergebnisse durch verschiedene Personen unterschiedlich ausfällt (Weinfurt 2007).

Einschätzungen der Betroffenen werden oft mit Hilfe speziell entwickelter Instrumente in *patient-reported outcome* (PRO)-Studien abgebildet. Nutzen wird hier als die Verbesserung eines nicht objektiv gemessenen, sondern von den betroffenen Personen subjektiv berichteten Endpunkts definiert. Ein klassisches Beispiel hierfür ist die Beschreibung gesundheitsbezogener Lebensqualität mit Hilfe fragebogenbasierter Instrumente. Ein Beispiel für ein solches Instrument ist der *Health Survey Short Form* (SF-36), welcher acht verschiedene Dimensionen des körperlichen und geistigen Wohlbefindens und der Fähigkeit zu sozialer Aktivität sowie zusätzlich die Veränderung der Gesundheit im Zeitverlauf erfasst (DeSalvo *et al.* 2005; Ware JE *et al.* 2001). PRO-Instrumente werden vermehrt auch in klinischen Studien integriert.

3. Gesundheitsökonomische Methoden der Nutzenbestimmung

Gesundheitsökonomische Kenngrößen zu generieren und eine Beurteilung der Kosten-Nutzen-Relation vorzunehmen, macht Sinn, falls die klinisch-

medizinische Beurteilung des Nutzens einer medizinischen Leistung oder einer Gruppen von Leistungen grundsätzlich positiv ausfällt. Die Beurteilung der Kosten-Nutzen-Relation geschieht im Vergleich zu einer Referenzleistung. Dabei werden die zusätzlichen Kosten (inkrementelle Kosten) pro zusätzlichem Gesundheitsgewinn (inkrementeller Nutzen) bestimmt. Verschiedene Typen gesundheitsökonomischer Evaluationsstudien unterscheiden sich hinsichtlich der Bestimmung des Nutzens, weisen aber auf der Ebene der Kostenbestimmung ein identisches Vorgehen auf.

Die *Kosten-Effektivitäts-Analyse* (*cost-effectiveness analysis*, CEA) definiert den inkrementellen Nutzen als den Einfluss einer medizinischen Leistung

Die Resultate präferenzbasierter Methoden hängen u. a. davon ab, ob Patienten oder gesunde Personen befragt werden.

auf einen klinischen Ergebnisparameter. Letzterer wird je nach Fragestellung von Fall zu Fall gewählt. Pro Analyse kann nur ein Effekt berücksichtigt werden. Da die Folgen von medizinischen Leistungen jedoch oft multidimensional, nicht im Voraus abschätzbar und von Unsicherheiten begleitet sind, kann dies unzureichend sein. CEA, die unterschiedliche klinische Ergebnisparameter verwenden, sind nur schwer vergleichbar.

Um dem Rechnung zu tragen, wurden übergreifende Konzepte entwickelt. Bei der *Kosten-Nutzen-Analyse* (*cost-benefit analysis*, CBA) werden alle Effekte monetär bewertet, was die Berücksichtigung einer breiten Palette von Effekten ermöglicht. Die monetäre Bewertung von Effekten ist jedoch komplex und mit Schwierigkeiten verbunden.

Die *Kosten-Nutzwert-Analyse* (*cost-utility analysis*, CUA) ist der derzeit am weitesten verbreitete Typ gesundheitsökonomischer Evaluationsstudien. Sie arbeitet mit einem integrativen Mass des Nutzens, das die hauptsächlichen patientenrelevanten Endpunkte, Lebenserwartung und Lebensqualität, in einer Grösse zusammenfasst. In der Regel werden hierzu qualitätsadjustierte Le-

bensjahre (QALYs) verwendet (de Joncheere 2010; Graf von der Schulenburg *et al.* 2007). Die Kosten-Effektivität wird ausgedrückt als inkrementelle Kosten pro gewonnenem QALY. Es können medizinische Leistungen mit verschiedenen Effekten und/oder Nebenwirkungen verglichen und indikations- und technologieübergreifende Vergleiche durchgeführt werden, was eine »Grob-sortierung« medizinischer Leistungen ermöglicht.

Das Konzept der qualitätsadjustierten Lebensjahre

Die dem QALY-Ansatz zugrundeliegende Idee ist, dass ein Jahr in perfekter Lebensqualität gleich viel Nutzen repräsentiert wie zwei Jahre in 50%iger oder zehn Jahre in 10%iger Lebensqualität (Brazier *et al.* 2007). Die Bestimmung der Lebensqualität erfolgt auf Basis präferenzbasierter Methoden (*standard gamble*, *time trade-off*² (Drummond *et al.* 2005). Mit Hilfe dieser Methoden wird ermittelt, als wie wünschenswert bzw. nicht wünschenswert Personen Gesundheitszustände bewerten (Brazier *et al.* 2007). Es resultieren sogenannte Nutzwerte (*utilities*). Diese sind auf einer linearen Skala definiert und reichen von unter null (»schlimmer als der Tod«) über null (»Tod«) bis eins (»vollständige Gesundheit«) (Brazier *et al.* 2007; Dolan *et al.* 1996; Gold *et al.* 1996).

Die Resultate präferenzbasierter Methoden hängen unter anderem davon ab, ob betroffene Patienten oder gesunde Probanden aus der Allgemeinbevölkerung befragt werden. Verschiedene Beispiele aus der Literatur zeigen, dass die Einschätzung der Lebensqualität durch Patienten von derjenigen differiert, die aus der Befragung gesunder Personen im Rahmen von Umfragen resultiert (Brousselle *et al.* 2011; Ubel *et al.* 2003). Letztere schätzen die Lebensqualität häufig niedriger ein als die Patienten selbst (Weinfurt 2007: p. 226). Eine Ursache könnte sein, dass sich gesunde Personen die Veränderungen, die bei

² Die Verfahren der Standardlotterie und time trade-off stellen häufig verwendete Ansätze zur Ermittlung von Nutzwerten dar. Es wird versucht, den Nutzwert für verschiedene Gesundheitszustände zu bestimmen, indem man Probanden diese Zustände beschreibt oder echte Patienten befragt.

Patienten im Krankheitsverlauf erfolgen, nur schwer vorstellen können (Garau *et al.* 2011). Betroffene stellen sich bei Krankheit oder auftretender Behinderung auf ihre neue Situation ein, indem sie ihre Fähigkeiten anpassen und ihre Präferenzen verändern (Brock 2003). Eine naheliegende Lösung ist die parallele Verwendung patienten- und bevölkerungsbasierter Nutzwerte (Drummond *et al.* 2009; Menzel *et al.* 2002).

Eine Nutzwertbestimmung bei Kindern ist methodisch schwierig, aufgrund fehlender kognitiver Fähigkeiten für die benötigten Wertungen und Gewichtungen und weil auch 'normale' körperliche Veränderungen durch Wachstum und Entwicklung das Befinden beeinflussen. Der praktische Stellenwert ist jedoch gering, da die Belastung der Gesundheitsbudgets durch medizinische Leistungen bei kleineren Kindern relativ gering ist (Interviewpartner 2011). Bei psychisch kranken, geistig behinderten oder dementen Menschen ergeben sich bei der Nutzwertbestimmung ebenfalls Probleme.

Bei der Bestimmung von QALY-Unterschieden gilt das Konzept der »*Linearität zwischen [...] der Lebensdauer einerseits sowie der Lebensqualität andererseits*« (Schleiniger *et al.* 2006). Wie sie zustande kommen, ob durch Effekte auf der Ebene der Lebensdauer, auf der Ebene der Lebensqualität oder durch beide in Kombination; bei jungen oder alten Menschen; bei leicht oder schwer erkrankten Menschen; bei Menschen, bei denen eine Heilung oder nur eine palliativ Behandlung möglich ist – dies ist QALY-Angaben nicht unmittelbar anzusehen. In der Literatur ist jedoch eine tendenzielle Bereitschaft beschrieben, mehr Ressourcen mit zunehmendem Schweregrad einer Erkrankung zu investieren (*priority to the worse off*) (Cohen *et al.* 2010; Deutscher Ethikrat 2011). Es scheint einen gesellschaftlichen Konsens dahingehend zu geben, dass die Verbesserung einer sehr schlechten Situation hin zu einer mässigen, Priorität hat vor der Verbesserung einer mässigen Situation hin zu einer sehr guten. Auch aus ethischer Sicht ist fraglich, ob jedes zusätzliche Lebensjahr in gleicher Gesundheit auch gleich bewertet werden soll (Brock 2003). QALY-Resultate beinhalten also für sich alleine genommen nicht alle Informationen, die für eine adäquate Interpretation und Nutzung

Box 1

- Personen, deren *Lebenserwartung* sich durch eine zu beurteilende medizinische Leistung nicht wesentlich steigern wird (bspw. ältere Menschen oder Menschen mit Erkrankungen/Behinderungen, die eine Einschränkung der Lebenserwartung bedingen).
- Personen, deren *Lebensqualität* sich durch eine zu beurteilende medizinische Leistung nicht wesentlich steigern wird (bspw. Menschen mit chronischen Erkrankungen/Behinderungen, deren Lebensqualität sich nicht über ein bestimmtes Mass hinaus steigern lässt).
- Personen, für die bestimmte medizinische Leistungen relativ *teuer* sind (bspw. Menschen mit Behinderungen, wenn die Erbringung medizinischer Leistungen bei diesen aufwendiger und teurer ist als bei Gesunden oder Menschen mit seltenen Krankheiten ohne entsprechenden Markt, für den Produkte zu günstigen Preisen entwickelt werden können).

Box 1. Beispiele für Personengruppen mit systematisch schlechteren Kosten-Effektivitäts-Werten als für die Durchschnittsbevölkerung.

benötigt werden. Es werden zusätzliche Informationen darüber benötigt, wie die jeweiligen QALYs zustande gekommen sind.

Aus der Art der Konstruktion von QALYs und aus der oben beschriebenen Linearitätsannahme ergeben sich bei einigen Personengruppen systematisch schlechtere Kosten-Effektivitäts-Werte als für die Durchschnittsbevölkerung. Wird dies ignoriert, kann ihr Einsatz zur Diskriminierung von bestimmten Personengruppen führen kann (Beispiele dafür sind in Box 1 aufgeführt).

4. Gesundheitsökonomische Methoden für Allokationsentscheidungen

Gesundheitsökonomischen Kenngrößen, wie sie mit Hilfe der im vorherigen Abschnitt beschriebenen Methoden ermittelt werden, können als Kriterien für Allokationsentscheidungen genutzt werden. Dabei werden diese Kenngrößen in Bezug gesetzt zu den finanziellen Rahmenbedingungen des Gesundheitssystems.

In einigen Gesundheitssystemen werden zu diesem Zweck *Kosten-Effektivitäts-Schwellenwerte* eingesetzt. Eine Anwendung starrer Schwellenwerte wird jedoch nirgends in Reinform praktiziert und ist auch nicht zu empfehlen, da oft nur unzureichende Kosten-Effektivitäts-Informationen vorliegen und ein Risiko kostensteigernder Effekte besteht. Ausserdem könnte es zu Diskriminierungen kommen. Mögliche Alternativen, bspw. in Form gewichteter Schwellenwerte, welche gesellschaftliche Präferenzen berücksichtigen, bedürfen

weiterer Evaluation und Diskussion. Die Beurteilung sollte deshalb auch das absolute Ausmaß des medizinischen Nutzens und *budget impact*-Aspekte berücksichtigen. Dies führt unter anderem zu der Fragestellung, ob durch die Finanzierung einer neuen medizinischen Leistung bei fixem Budget ein zusätzlicher Netto-Gesundheitsnutzen erzielt werden kann, auch wenn für diese neue Leistung, sofern sie mit Mehrkosten verbunden sind, etablierte Leistungen aufgegeben werden müssen.

Kosten-Effektivitäts-Ranglisten (*league tables*) als Ansatz einer Ressourcenallokation sind konzeptionell verwandt mit dem Schwellenwert-Ansatz. Ein rein am Kosten-Nutzwert-Verhältnis orientierter Ansatz führt zu kontraintuitiven Ergebnissen. So können relativ billige Interventionen mit geringem Nutzen (z. B. eine Zahnkrone) im Rang vor lebensrettenden, aber relativ teuren Interventionen (z. B. einer Appendektomie) zu liegen kommen.

Das *Konzept der Effizienzgrenze* wird in Deutschland angewandt. Dabei werden *benchmark*-Kriterien für medizinische Leistungen aus dem besten Kosten-Nutzen-Verhältnis abgeleitet, das mit etablierten medizinischen Leistungen zu einem gegebenen Zeitpunkt erzielt werden kann. Derzeit wird die Ermittlung solcher Effizienzgrenzen indikationsspezifisch vorgenommen. Dabei wird über den kritischen Nutzenparameter von Fall zu Fall entschieden. Die Verwendung von QALYs stellt hier eine Möglichkeit, jedoch nicht den Standard dar.

5. Rein ökonomische Methoden der Nutzenbestimmung

Preisvergleiche und *budget impact analyses* (BIA) sind rein kostenorientierte gesundheitsökonomische Methoden. Für ähnliche medizinische Leistungen (zumeist Medikamente) wird bei Preisvergleichen entweder der Preis des billigsten Produkts oder ein Durchschnittspreis festgelegt. Als Grundlage dienen nationale Vergleiche der im gleichen Indikationsgebiet zugelassenen Medikamente oder internationale Vergleiche. BIA zeigen die Auswirkungen auf das Budget eines Gesundheitssystems oder einer medizinischen Einrichtung auf, die sich in Folge einer Änderung im medizinischen Leistungsangebot ergeben. Eine Nutzenbestimmung erfolgt allenfalls, um Kostengrößen bestimmen zu können. Zumeist wird allerdings von einem identischen oder ähnlichen Nutzen der verglichenen medizinischen Leistungen ausgegangen.

6. Integrative Methoden der Nutzenbestimmung

Health Technology Assessments (HTA) synthetisieren als integrativer Ansatz der Nutzenbestimmung und -bewertung die vorhandene Evidenz unter Berücksichtigung der klinischen Wirksamkeit, der Sicherheit, der Kosten-Effektivität und des *budget impact*. Soziale, ethische und juristische Aspekte werden ebenfalls berücksichtigt. Es resultieren evidenzbasierte Grundlagen für informierte Entscheidungsprozesse über die Verwendung bzw. Vergütung medizinischer Leistungen. Die Vorgehensweise bei der Erarbeitung von HTA unterscheidet sich im Ländervergleich stark und verschiedene Aspekte der HTA-Methodik befinden sich noch in Weiterentwicklung. Es gibt aber Bestrebungen hin zu einer Vereinheitlichung auf europäischer Ebene. Als Beispiel sei hier die EUnetHTA-Initiative genannt (www.eunetha.eu): EUnetHTA hat das Ziel, die Zusammenarbeit in Europa im Bereich von HTA zu stärken, die Anstrengungen europäischer HTA-Organisationen zu koordinieren und den Informationsaustausch zu verbessern.

7. Ethische Aspekte der Nutzenbestimmung

Alle oben beschriebenen Methoden haben ethische Implikationen und müssen auch unter ethischen Gesichtspunkten beurteilt werden. Aus ethischer Sicht ist es geboten, limitierte öffentliche Ressourcen in möglichst fundierter, effizienter und transparenter Weise einzusetzen und uninformierte Entscheide, mit potentiell negativen Folgen, zu vermeiden. Entscheidungen sind im Lichte neuer Daten oder Argumente zu revidieren (Daniels *et al.* 2008). Der effiziente Einsatz von Mitteln im Gesundheitswesen muss neben der Fokussierung auf den Aspekt der Nutzenmaximierung auch zusätzliche Erwägungen berücksichtigen. Insbesondere die Diskriminierung bestimmter Personen(-gruppen), beispielsweise von Personen, bei denen aus verschiedenen Gründen Therapien weniger Effekt zeigen als bei anderen

Wie ethische Aspekte bei der Bewertung medizinischer Leistungen berücksichtigt werden sollen, ist eine aktuelle Forschungsfrage.

Personen, ist zu vermeiden. Zudem ist der Nutzen mit Blick auf patientenrelevante Endpunkte zu bestimmen, wobei Ergebnisse zwischen verschiedenen Patientengruppen variieren können. Wie ethische Aspekte – jenseits orientierender Leitfragen – systematisch bei der Bewertung medizinischer Leistungen berücksichtigt werden sollen, ist eine aktuelle Forschungsfrage (Burls *et al.* 2011).

8. Monetäre Bewertung menschlichen Lebens in anderen gesellschaftlichen Bereichen

Im Kontext knapper Mittel im Gesundheitswesen stellt sich zwangsläufig auch die Frage, wie viel Geld investiert werden kann, um ein Jahr menschlichen Lebens zu gewinnen. Eine Diskussion um eine solche monetäre Bewertung menschlichen Lebens ist nicht unmoralisch, sondern unvermeidbar. Sie erfolgt implizit oder explizit auch in anderen gesellschaftlichen Bereichen. So unter

anderem im Rechts- und im Versicherungswesen, wo explizite oder implizite Bewertungen menschlichen Lebens vorgenommen werden, um Entscheidungen zu informieren. Dabei werden unterschiedliche Methodiken angewandt. Wirtschaftswissenschaftliche Methoden der Lebensbewertung basieren auf dem Humankapital-Ansatz³ und insbesondere auf Ansätzen der Bestimmung der Zahlungsbereitschaft⁴ (*willingness-to-pay*, WTP), wie sie auch für gesundheitsökonomische CBA und für die Festlegung von Kosten-Effektivitätsschwellenwerten von Bedeutung sind (Bayoumi 2004; Pock 2008; Schleinitzer *et al.* 2006).

9. Anwendung von Methoden der Nutzenbestimmung

Die länderspezifische Praxis im Bereich der Bestimmung und Bewertung des Nutzens medizinischer Leistungen bzw. des HTA unterscheidet sich stark: In einigen Ländern (z. B. Grossbritannien, Schweden) werden die Kosten pro gewonnenem QALY relativ konsequent als Grundlage für Vergütungsentscheide genutzt. Andere Länder (z. B. Frankreich, Deutschland) verfolgen Ansätze, bei denen Zusatznutzen und Innovationsgrad einer medizinischen Leistung Einfluss auf Vergütung und Preisbildung haben. Wieder andere Länder, z. B. die Schweiz, stützen sich auf Kostenfolgenabschätzungen und Preisvergleiche.

Die Spannweite beim Ablauf konkreter HTA-Prozesse ist ebenfalls sehr gross. Während der Ablauf transparent, nachvollziehbar und für die Öffentlichkeit leicht zugänglich dokumentiert sein kann (wie z. B. in Grossbritannien), sind entsprechende Informationen in anderen Ländern (z. B. in der Schweiz) nicht in gleichem Masse verfügbar.

Ebenfalls grosse Unterschiede zei-

³ Der Humankapital-Ansatz ist ein Verfahren zur Bemessung indirekter Kosten aufgrund des erwarteten Wertschöpfungspotentials eines Individuums.

⁴ Der Zahlungsbereitschafts-Ansatz ist ein Verfahren, um indirekt ein Mass für die Lebensqualität und den Leidensdruck von Krankheiten zu ermitteln, indem man bestimmt, wie viel eine betroffene Person bereit wäre, für eine Reduktion des Erkrankungs- oder Sterberisikos, oder eine Minderung des Leidens, zu bezahlen.

gen sich bei der Preisbildung, welche in verschiedenen Ländern in unterschiedlichem Masse mit der Bewertung der medizinischen Leistungen verknüpft ist.

Insgesamt lässt sich aber doch eine gewisse Tendenz zur Konvergenz der verschiedenen Systeme ausmachen und eine intensiviertere internationale Zusammenarbeit beobachten.

Schlussfolgerungen

Da die Kosten der öffentlichen Gesundheitswesen stark gestiegen sind, ist es sinnvoll methodisch fundierte, breit abgestützte und effiziente HTA-Systeme einzurichten. Dabei kann unter Umständen auch auf Elemente, welche sich in anderen HTA-Systemen bewährt haben, zurückgegriffen werden. Die jeweiligen Werthaltungen und Präferenzen der Bevölkerung sollte aber beachtet (Schlander *et al.* 2011) und Diskriminierungen verhindert werden.

Alle Leistungen, welche das Budget eines Gesundheitssystems belasten, sollten Gegenstand von HTAs sein können. Neben neuen Leistungen sollten auch bereits etablierte Leistungen evaluiert werden. Um wichtige Entwicklungen frühzeitig zu erfassen und angesichts limitierter Kapazitäten der evaluierenden Instanzen ist ein Priorisierungssystem mit *horizon scanning* erforderlich.

Bei der Bestimmung nutzenbezogener und ökonomischer Kenngrößen muss unterschieden werden zwischen der Generierung dieser Kenngrößen einerseits und deren Nutzung für Vergütungsentscheide andererseits. Nutzendefinitionen und Vorgaben für relevante HTA-Elemente sollten auf einem breit abgestützten Konsens beruhen. Empfohlen wird die Bestimmung der international etablierten Kenngrößen QALYs und Kosten pro QALY als integrative Masse des Nutzens. Bei der Interpretation und Nutzung dieser Kenngrößen muss unter anderem berücksichtigt werden, dass QALY-Werte für verschiedene Personengruppen systematisch unterschiedlich ausfallen können, was bei Nichtbeachtung zu Diskriminierungen führen kann. Für informierte Entscheidungsfindungen sind Informationen zum relevanten Zusatznutzen und zum Innovationsgrad medizinischer Leistungen ebenfalls wertvoll und sollten generiert werden. Wenn möglich sollten Resultate in in-

ternationaler Kooperation gemeinsam erarbeitet oder bereits bestehende Daten aus anderen Ländern übernommen und allenfalls angepasst werden.

Für Entscheidungsprozesse stellen Daten zum Nutzen und zur Kosten-Nutzen-Relation wichtige Informationsgrundlagen dar. Die Entschei-

Die Potentiale eines modernen und breit abgestützten HTA sollten verstärkt genutzt und kritisch evaluiert werden.

dungsfindung selbst sollte wertebasiert und als mehrstufiger Prozess gestaltet werden. Dabei sollten möglichst transparent auch ethische, soziale und juristische Kriterien in die Entscheidung einbezogen werden. In verschiedenen Gesundheitssystemen werden Kosten-Effektivitäts-Schwellenwerte als Entscheidungskriterium beigezogen. Eine Anwendung starrer Schwellenwerte wird jedoch nirgends praktiziert und ist nicht zu empfehlen. Mögliche Alternativen, so etwa ein modifizierter Schwellenwert-Ansatz, der allenfalls auch den relevanten Zusatznutzen bzw. Innovationsgrad berücksichtigen könnte, bedürfen weiterer Evaluation und Diskussion. Dabei stellt sich auch die Frage, ob und wie Vergütungsentscheide mit Prozessen der Preisbildung sinnvoll verknüpft werden können. Bei der Gesamtbeurteilung neuer Leistungen muss berücksichtigt werden, dass aus der Neuvergütung kosteneffektiver, aber nicht kostensparender Leistungen eine Verdrängung bestehender Leistungen aus dem Leistungskatalog und damit ein Nutzenverlust resultieren kann. Ein effizientes HTA- und Vergütungssystem sollte zudem Innovationsanreize im Bereich unbefriedigter medizinischer Bedürfnisse setzen.

Bei den HTA-Prozessen sollte definiert werden, wie und durch wen Entscheide über durchzuführende HTAs getroffen werden. In Ländern, in welchen HTAs bisher nur auf Antrag durchgeführt werden, sollten Behörden oder allfällige »offizielle« HTA-Einrichtungen bei der Initiierung von Bewertungen selber aktiv werden können. In HTA-Prozessen sollten alle wichtigen Stake-

holder eingebunden werden. Dabei ist es wichtig, unangemessene Einflüsse von Partikularinteressen zu vermeiden. Das gesamte HTA-System sollte so transparent wie möglich gestaltet werden: Die anzuwendenden Methoden sollten detailliert festgelegt, die einzelnen Schritte transparent, nachvollziehbar und gut zugänglich dokumentiert werden. Transparenz ist auch als Bremse zu sehen, politisch motivierte Entscheide zu verhindern und stellt eine Voraussetzung kritischer Diskussionsprozesse dar. Im Sinne einer effizienten Nutzung der zur Verfügung stehenden HTA-Ressourcen sollten auch Möglichkeiten für volle und abgekürzte HTA-Prozesse bestehen.

Angesichts der Kostenentwicklung der gesetzlichen Krankenversicherungen sollten die Potentiale eines modernen und breit abgestützten HTA verstärkt genutzt und dabei auch kritisch evaluiert werden.

Interessenskonflikte

Die Autorinnen und Autoren sind Angestellte universitärer Institute, für welche die Durchführung von HTAs einen Forschungsgegenstand darstellt und die teilweise auch selbst an der Erarbeitung und/oder Beurteilung von HTAs in nationalen und/oder internationalen Kontexten beteiligt sind. TDS ist außerdem Verwaltungsratspräsident der Helsana AG, einer Schweizer Krankenversicherung. ■

Literatur

- Anmerkung der Autoren:** Der Begriff »medizinische Leistungen« umfasst im vorliegenden Sachzusammenhang das gesamte Leistungsspektrum (ärztliche, pflegerische und therapeutische Leistungen) im Gesundheitswesen.
- Anon. (1998):** Integrating Economic Analysis Into Cancer Clinical Trials: the National Cancer Institute-American Society of Clinical Oncology Economics Workbook. Journal of the National Cancer Institute Monographs 1998(24): 1–28.
- Bayoumi, A. (2004):** The measurement of contingent valuation for health economics. Pharmacoeconomics 22(11): 691–700.
- Brazier, J. und J. Ratcliffe (2007):** Measuring and valuing health benefits for economic evaluation. 344.
- Brock, D. W. (2003):** Ethical Issues in the Use of Cost Effectiveness Analysis for the Prioritization of Health Care Resources. Bioethics: A Philosophical Overview. G. Khushf und H. T. Engelhardt. Dordrecht, Kluwer Academic Publishers.
- Brousselle, A. und C. Lessard (2011):** Economic evaluation to inform health care decision-making: promise, pitfalls and a proposal for an alternative path. Social Science & Medicine 72(6): 832–9.
- Burls, A., L. Caron, G. Cleret de Langavant, W. Dondorp, et al. (2011):** Tackling ethical issues in health technology assessment: a proposed framework. International Journal of Technology Assessment in Health Care 27(3): 230–7.
- Caplan, A. L. (2011):** Will Evidence Ever Be Sufficient to Resolve the Challenge of Cost Containment? Journal of clinical oncology : official journal of the American Society of Clinical Oncology 29(15).
- Cohen, J. und W. Looney (2010):** What is the value of oncology medicines? Nature Biotechnology 28(11): 1160–1163.
- Congressional Budget Office (2007):** Research on the Comparative Effectiveness of Medical Treatments: Issues and Options for an Expanded Federal Role. The Congress of the United States, von <http://www.cbo.gov/doc.cfm?index=8891>
- Corbin, J. und A. L. Strauss (1996):** Grounded Theory: Grundlagen Qualitativer Sozialforschung. Weinheim, Beltz/PVU.
- Daniels, N. und J. E. Sabin (2008):** Accountability for reasonableness: an update. British Medical Journal 337: a1850–a1850–a1850–a1850.
- de Joncheere, K. (2010):** Health Technology Assessment : current issues and future perspectives. The role of health technology assessment agencies in national rationing policies: towards elements for best practice, Zurich.
- DeSalvo, K. B., V. S. Fan, M. B. McDonell und S. D. Fihn (2005):** Predicting mortality and healthcare utilization with a single question. Health services research 40(4): 1234–46.
- Deutscher Ethikrat (2011):** Nutzen und Kosten im Gesundheitswesen – Zur normativen Funktion ihrer Bewertung, von <http://www.ethikrat.org/dateien/pdf/stellungnahme-nutzen-und-kosten-im-gesundheitswesen.pdf>
- Dolan, P., C. Gudex, P. Kind und A. Williams (1996):** The time trade-off method: results from a general population study. Health Economics 5(2): 141–54.
- Drummond, M., D. Brixner, M. Gold, P. Kind, et al. (2009):** Toward a Consensus on the QALY. Value in Health 12: S31–S35–S31–S35.
- Drummond, M. F., B. O'Brien, G. L. Stoddart und G. W. Torrance (2005):** Methods for the Economic Evaluation of Health Care Programmes. Oxford, Oxford University Press.
- EunetHTA (2007):** HTA definition. Abgefragt am 6. Okt. 2011, von <http://www.eunethta.net/HTA/>
- Garau, M., K. K. Shah, A. R. Mason, Q. Wang, et al. (2011):** Using QALYs in Cancer: A Review of the Methodological Limitations. Pharmacoeconomics 29(8): 673–85.
- Gold, M. R., J. E. Siegel, L. B. Russell und M. C. Weinstein (1996):** Cost-effectiveness in health and medicine: report to the U.S. Public Health Service. New York, Oxford University Press.
- Graf von der Schulenburg, J.-M., C. Vauth, T. Mittendorf und W. Greiner (2007):** Methods for determining cost-benefit ratios for pharmaceuticals in Germany. The European Journal of Health Economics 8 Suppl 1: S5–31.
- Interviewpartner (2011):** Persönliche und telefonische Interviews, aggregierte Aussagen.
- Mckie, J., B. Shrimpton, J. Richardson und R. Hurworth (2011):** The monetary value of a life year: evidence from a qualitative study of treatment costs. Health Economics 20(8): 945–957.
- Menzel, P., P. Dolan, J. Richardson und J. A. Olsen (2002):** The role of adaptation to disability and disease in health state valuation: a preliminary normative analysis. Social Science & Medicine 55(12): 2149–2158.
- Owens, D. K., A. Qaseem, R. Chou, P. Shekelle, et al. (2011):** High-value, cost-conscious health care: concepts for clinicians to evaluate the benefits, harms, and costs of medical interventions. Annals of internal medicine 154(3): 174–180.
- Pock, M. (2008):** Der ökonomische Wert von Gesundheit am Beispiel Österreich. Doktorarbeit in Sozial- und Wirtschaftswissenschaften, Universität Wien: 1–156. <http://othes.univie.ac.at/2217/>.
- Schlender, M., C. Affolter, H. Sandmeier, U. Brügger, et al. (2011):** Schweizer HTA-Konsensus Projekt: Eckpunkte für die Weiterentwicklung in der Schweiz. Basel, Bern, Solothurn und Wiesbaden, von <http://www.swisshta.ch>
- Schleiniger, R. und J. Blöchliger (2006):** Der Wert des Lebens aus ökonomischer Sicht: Methoden, Empirie, Anwendungen. Winterthurer Institut für Gesundheitsökonomie (WIG), von http://www.wig.zhaw.ch/fileadmin/user_upload/management/wig/forschung/pdf/bericht_wert_des_lebens.pdf
- Ubel, P. A., G. Loewenstein und C. Jepson (2003):** Whose quality of life? A commentary exploring discrepancies between health state evaluations of patients and the general public. Quality of life research 12(6): 599–607.
- Ware JE, Kosinski M und D. JE (2001):** How to score version 2 of the SF-36 Health Survey. Lincoln (RI), QualityMetric, Inc., 3rd edition.
- Weinfurt, K. P. (2007):** Value of high-cost cancer care: a behavioral science perspective. J Clin Oncol 25(2): 223–7.
- Windeler, J. (2006):** Nutzen und Nutzenbewertung. Deutsche Medizinische Wochenschrift 131(Suppl 1): S12–S15.