

Bedingte Erstattung

Erfahrungen aus
ausgewählten Ländern



Ludwig Boltzmann Institut
Health Technology Assessment

LBI-HTA Projektbericht Nr.: 24
ISSN: 1992-0488
ISSN-online: 1992-0496

Bedingte Erstattung

Erfahrungen aus
ausgewählten Ländern



Ludwig Boltzmann Institut
Health Technology Assessment

Wien, Jänner 2009

Projektleitung &
Projektbearbeitung: Dr. Anna Nachtnebel, MSc PH

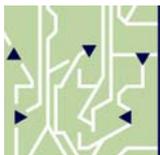
Dieser Bericht soll folgendermaßen zitiert werden/This report should be referenced as follows:

Anna Nachtnebel. Bedingte Erstattung – Erfahrungen aus ausgewählten Ländern. HTA-Projektbericht 2009; Nummer 24.

IMPRESSUM

Medieninhaber und Herausgeber:
Ludwig Boltzmann Gesellschaft GmbH
Operngasse 6/5, Stock, A-1010 Wien
<http://www.lbg.ac.at/de/lbg/impressum>

Für den Inhalt verantwortlich:



Ludwig Boltzmann Institut für Health Technology Assessment (LBI-HTA)
Garnisongasse 7/20, A-1090 Wien
<http://hta.lbg.ac.at/>

Die LBI-HTA-Projektberichte erscheinen unregelmäßig und dienen der Veröffentlichung der Forschungsergebnisse des Ludwig Boltzmann Instituts für Health Technology Assessment.

Die Berichte erscheinen in geringer Auflage im Druck und werden über das Internetportal „<http://eprints.hta.lbg.ac.at/>“ der Öffentlichkeit zur Verfügung gestellt:

LBI-HTA Projektbericht Nr.: 24
ISSN: 1992-0488
ISSN-online: 1992-0496

© 2009 LBI-HTA – Alle Rechte vorbehalten

Inhalt

Inhalt	3
Liste der Abkürzungen.....	4
Summary	5
Zusammenfassung.....	6
1 Einleitung.....	7
2 Methodik.....	9
3 Begrifflichkeit und Anwendungsbereiche.....	11
4 Bedingte Erstattung in ausgewählten Ländern	13
4.1 USA	13
4.1.1 Hintergrund.....	13
4.1.2 Coverage with evidence development.....	14
4.1.3 Fallbeispiele.....	16
4.2 England.....	18
4.2.1 Hintergrund.....	18
4.2.2 Only in research	19
4.2.3 Fallbeispiele.....	20
4.3 Australien	24
4.3.1 Hintergrund.....	24
4.3.2 Interim funding.....	25
4.3.3 Fallbeispiele.....	27
5 Kritische Fragen	31
5.1 Art der Technologie	31
5.2 Studienendpunkte	31
5.3 Konsequenzen für PatientInnen.....	32
5.4 Konsequenzen für Industrie	32
5.5 Studienart	33
5.6 Life cycle	33
5.7 Zeitraum	34
5.8 Kosten	34
6 Schlussfolgerungen	37
7 Referenzen.....	39

Tabellenverzeichnis

Tabelle 4.1-1: Beispiele für CED.....	17
Tabelle 4.2-1: Beispiele für OIR.....	22
Tabelle 4.3-1: Hauptcharakteristika der verschiedenen Modelle im Vergleich	27
Tabelle 4.3-2: Beispiele für interim funding.....	29

Liste der Abkürzungen

RCT – randomisiert, kontrollierte Studie
USA – Vereinigte Staaten von Amerika
CMS – Centers for Medicare and Medicaid Services
FDA – Food and Drug Administration
LCD – Lokale Kostenerstattungsentscheidung
NCD – Nationale Kostenerstattungsentscheidung
MedCAC – Medicare Evidenz Development and Coverage Advisory Committee
NHS – National Health Service
NICE – National Institute for Health and Clinical Excellence
MHRA – Medicines and Healthcare products Regulatory Agency
R&D – Research and Development
MSAC - Medical Services Advisory Committee
NIHR – National Institute for Health Research
CED – Coverage with Evidence Development
CAD – Coverage with Appropriateness Determination
CSP – Coverage with Study Participation
AHRQ - Agency for Healthcare Research and Quality
ICD – Implantierbarer Kardio-Defibrillator
OIR – Only in research
NETT – National Emphysema Treatment Trial
LVRS – Lung volume reduction surgery
NIH –National Institute for Health
PET – Positronen-Emissions Tomographie
PCT – Pragmatische klinische Studie
VOI – Value-of-information

Summary

Background: In order to allocate scarce resources effectively, reimbursement decisions for health technologies should be evidence-based. However, decision-makers are often confronted with the problem that study results are either not applicable to clinical routine or that high quality data is not available at all. Possible consequences of decisions under uncertainty could be high opportunity costs in terms of wasting limited resources or increased risks for patients.

reimbursement decisions should be evidence-based

Methodology: This project was based on information available in the public domain, primarily on the websites of the included institutions CMS, MSAC and NICE. Additional data was identified by conducting a literature search on PubMed Central and the HTA database. Remaining ambiguity was sought to be clarified by personal contact with experts.

information available in the public domain, literature search, personal contact

Results: The concept of Coverage with Evidence Development has already been employed in the USA, England and Australia. Despite differences in the terms used, the underlying principle is identical: Reimbursement of technologies is tied to the condition of further evidence generation. While providing an opportunity to influence study-designs and outcomes, decision-makers should be enabled to obtain data specifically tailored to meet their needs without restricting access to promising technologies.

Coverage with Evidence Development: reimbursement of technologies tied to condition of further evidence generation

Although the three countries investigated show substantial differences, similarities exist in terms of the appliance of Coverage with Evidence Development mostly for new or emerging technologies, the inclusion of evidence generated through a variety of study designs, as well as in the basic refusal of service providers to fund additional research. Further similarities include that several unresolved issues that seem to impact on the successful implementation of Coverage with Evidence Development. Some of the most important ones are questions concerning choice of the best study-design, identification of suitable technologies and of the best point in the life-cycle, consequences for industry and patients and foremost, assurance of funding for additional studies.

similarities and unresolved issues in the US, England and Australia

Conclusions: Although some differences can be found in the use of Coverage with Evidence Development in the USA, England and Australia, several common factors seem to determine the success of this decision-making tool. Suitable technologies and adequate study-designs should be identified in a clear and transparent process which includes all relevant stakeholders. If, additionally, appropriate funding mechanisms for further evidence generation are in place, Coverage with Evidence Development will prove a valuable means for reimbursement decisions.

factors determining success of Coverage with Evidence development: study-design, stakeholder involvement, funding ...

Zusammenfassung

<p>Entscheidungen über Kostenerstattung sollten auf wissenschaftlichen Studien basieren</p>	<p>Hintergrund: Um vorhandene, limitierte Ressourcen möglichst zielgerichtet einzusetzen, sollten wissenschaftliche Studien die Grundlage für Entscheidungen über Kostenerstattung von Gesundheitstechnologien bilden. Politische EntscheidungsträgerInnen sehen sich aber oft mit dem Problem konfrontiert, dass die Anwendung der Ergebnisse auf den klinischen Alltag begrenzt möglich ist, oder, dass hochwertige Studien zum Zeitpunkt der Entscheidungsfindung noch nicht vorliegen. Mögliche Konsequenzen von mit Unsicherheiten verbundenen Entscheidungen sind hohe Opportunitätskosten im Sinne von Verschwendung knapper Ressourcen oder erhöhte Risiken für PatientInnen.</p>
<p>Informationen aus öffentlichen Websites, Literatursuche, persönliche Kontaktaufnahme</p>	<p>Methode: Grundlage für dieses Projekt bildeten in erster Linie Informationen aus öffentlich zugänglichen Websites, allen voran die der vorgestellten Institutionen CMS, MSAC und NICE. Das vorhandene Material wurde durch Literatursuchen in PubMed Central und der HTA-Datenbank ergänzt. Etwaige Unklarheiten wurden durch persönliche Kontaktaufnahme mit ExpertInnen versucht zu bereinigen.</p>
<p>Bedingte Erstattung: Kostenerstattung wird mit Bedingung nach weiterer Evidenzgenerierung verbunden</p>	<p>Ergebnisse: Das Konzept von Bedingter Erstattung wird bereits in den USA, England und Australien verwendet. Trotz unterschiedlichen Begriffen ist das zugrundeliegende Prinzip ident: Kostenerstattung von Technologien wird mit der Bedingung nach weiterer Evidenzgenerierung verbunden. Mit der Möglichkeit Einfluss auf Studien zu nehmen, können EntscheidungsträgerInnen speziell auf ihre Bedürfnisse abgestimmte Informationen erheben, ohne dabei den Zugang zu erfolgversprechenden Technologien verweigern zu müssen.</p>
<p>Parallelen und...</p>	<p>Obwohl diese drei Länder teilweise beträchtliche Unterschiede aufweisen, bestehen aber auch Parallelen in der Anwendung von Bedingter Erstattung. So wird dieses Konzept hauptsächlich für neue oder in Entwicklung befindliche Technologien verwendet, nicht nur hochwertigste Studiendesigns können Anwendung finden und Kosten für Studien werden nur in Ausnahmefällen von den Leistungsträgern selbst übernommen.</p>
<p>offene Fragen in den USA, England und Australien</p>	<p>Weitere Gemeinsamkeit ist auch, dass einige Faktoren diskutiert werden, die entscheidend für den Erfolg von Bedingter Erstattung sein dürften. Zu den wichtigsten gehören Fragen zu Studiendesign, geeigneten Technologien und bestem Zeitpunkt, Folgen für PatientInnen und Industrie und vor allem zu Finanzierung von weiteren Studien.</p>
<p>wichtige Faktoren für die erfolgreiche Anwendung von Bedingter Erstattung: Studiendesign, klare Abläufe, Finanzierung,...</p>	<p>Schlussfolgerungen: Obwohl Bedingte Erstattung in den USA, England und Australien teilweise unterschiedlich gebraucht wird, dürften doch einige gemeinsame Faktoren über die erfolgreiche Anwendung dieses Steuerungsinstruments bestimmen: geeignete Technologien und Studiendesigns sollten unter Einbeziehung aller Beteiligten – allen voran PatientInnen, Industrie und EntscheidungsträgerInnen, im Rahmen von klar definierten Abläufen identifiziert werden. Sollte darüber hinaus die Finanzierung von weiteren Studien gesichert sein, stellt Bedingte Erstattung zweifellos eine wertvolle Bereicherung im Entscheidungsprozess über Kostenerstattung dar.</p>

1 Einleitung

Die Methoden der Evidenz basierten Medizin (EBM) haben für die Entwicklung von klinischen Leitlinien, Zulassungsverfahren und letztendlich auch für die Entscheidung über Erstattung zugelassener medizinischer Verfahren eine wichtige Bedeutung. Da neue Technologien maßgeblich an steigenden Gesundheitskosten beteiligt sind, kommt der Beurteilung von Effektivität und Kosteneffizienz von Innovationen eine bedeutende Rolle zu, um die vorhandenen, limitierten Ressourcen möglichst zielgerichtet einzusetzen.

Grundlage für Entscheidungen über Kostenerstattung von Gesundheitstechnologien bilden wissenschaftliche Studien, wobei neben systematischen Übersichtsarbeiten, randomisierte kontrollierte Studien (RCTs) als Goldstandard gelten [1]. Politische EntscheidungsträgerInnen sehen sich aber oft mit dem Problem konfrontiert, dass selbst wenn RCTs vorhanden sind, die Anwendung der Ergebnisse auf den klinischen Alltag limitiert ist [2], wissenschaftlich hochwertige Studien zum Zeitpunkt der Entscheidungsfindung noch nicht vorliegen, oder aber die Überlegenheit einer neuen Technologie über die derzeitige Standardtherapie nicht bewiesen ist [3].

Weitere Barrieren für das Abwarten von Wirksamkeitsnachweisen bestehen durch divergierende Interessen der beteiligten Akteure: medizinisch-technische Unternehmen drängen mit ihren Produkten, unterstützt von offensiven Marketingkampagnen, auf den Markt [4], Lobbying und vorzeitiges Veröffentlichen von Studienergebnissen schüren die Nachfrage nach Technologien [5]. Dadurch fordern PatientInnen Zugang zu diesen technologischen Neuerungen, selbst wenn keine ausreichende wissenschaftliche Basis über Wirkung und Nebenwirkung vorhanden ist [6]. Zusätzlich unterscheiden sich PatientInnen auch hinsichtlich ihres Risikoverhaltens vom Gesundheitspersonal: Selbst bei nur geringen Aussichten auf Heilung, beziehungsweise Linderung von Symptomen, sind PatientInnen viel eher bereit Risiken in Kauf zu nehmen [7].

Bedingt durch diese Faktoren, diffundieren Technologien auch ohne ausreichende, wissenschaftliche Basis in den klinischen Alltag. Da der Zugang zu einmal in Gebrauch befindlichen Technologien rückwirkend schwer zu limitieren ist [8], müssen Entscheidungen rechtzeitig und anhand der besten, verfügbaren Evidenz getroffen werden. Generell bestehen dabei drei Möglichkeiten:

- ❖ Annehmen einer Technologie auf Basis der vorhandenen Evidenz,
- ❖ Ablehnung der Technologie auf Basis der vorhandenen Evidenz,
- ❖ Ablehnung einer Technologie bis zum Vorliegen weiterer Evidenz [9].

Naturgemäß sind mit diesen Entscheidungen Unsicherheiten verbunden, die folgende Konsequenzen nach sich ziehen könnten:

Entscheidungen über Kostenerstattung sollten auf Methoden der EBM beruhen

damit verbundene Probleme

weitere Barrieren

drei Entscheidungsmöglichkeiten

mögliche Konsequenzen von Entscheidungen unter Unsicherheit

- ❖ Behandlungsoptionen werden nicht in den Leistungskatalog aufgenommen, die sich später als wirksam und kostengünstig herausstellen.
- ❖ Therapien werden angenommen, wobei aber nach breiter Anwendung Zweifel über deren Effektivität oder Sicherheit aufkommen.
- ❖ Die Ablehnung einer Technologie unterbindet weitere Initiativen in Forschung und Entwicklung zu investieren.
- ❖ Die Aufnahme einer Technologie in den Leistungskatalog erschwert weitere Maßnahmen zur Evidenzgenerierung, da zum Beispiel die Rekrutierung von PatientInnen für klinische Studien einer bereits in Gebrauch befindlichen Therapie als unethisch angesehen werden könnte [10].

Hohe Opportunitätskosten im Sinne von Verschwendung limitierter Ressourcen oder erhöhte Risiken für PatientInnen wären mögliche Folgen [11].

**als vierte Möglichkeit
Bedingte Erstattung:
Kostenerstattung
zeitlich limitiert und mit
Bedingung nach
Evidenzgenerierung
verbunden**

Bedingte Erstattung soll nun einen Ansatz bieten, sowohl Interessenskonflikte als auch methodische Probleme zu überwinden. Kosteneffiziente und gesundheitsmaximierende Entscheidungen sollen ermöglicht werden, indem

- ❖ Technologien zeitlich limitiert und mit der Bedingung nach weiterer Evidenzgenerierung adoptiert werden [9].

2 Methodik

Grundlage für dieses Projekt bildeten in erster Linie Informationen von drei Quellen, allen voran die frei zugänglichen Websites von „Centers for Medicare and Medicaid Services“, „Medical Services Advisory Committee“ und vom „National Institute for Health and Clinical Excellence“. Neben allgemeinen Informationen über Aufgabenbereiche und Organisationsstruktur der einzelnen Institutionen wurden auch Angaben über Anwendungsrichtlinien von Bedingter Erstattung, sowie Beispiele dafür gesucht. Des Weiteren wurde durch persönliche Kontaktaufnahme versucht, etwaige fehlende Daten zu ergänzen oder Unklarheiten zu beseitigen.

Um das vorhandene Material zu ergänzen und um Quellen für die mit Bedingter Erstattung verbundenen Fragestellungen zu erhalten, wurde eine Literatursuche in PubMed Central und in der HTA Datenbank durchgeführt. Mit Verwendung von relevanten Suchbegriffen, sowie dem Scannen der Referenzlisten von Schlüsselpublikationen wurden relevante Artikel identifiziert.

drei Quellen:

**Websites der
vorgestellten
Institutionen...**

**persönliche
Kontaktaufnahme...**

Literatursuche

3 Begrifflichkeit und Anwendungsbereiche

Bedingte Erstattung wird bereits in mehreren Ländern als Instrument verwendet, um Technologien kontrolliert zugänglich zu machen [12-15]. Obwohl bisher keine Einigkeit über den zu verwendenden Begriff erlangt werden konnte – „conditional coverage“, „coverage with evidence development“, „only in research“ oder „interim funding“ sind nur einige Beispiele – so ist das zu Grunde liegende Prinzip jedoch ident: „Kostenerstattung wird als politisches Instrument verwendet, indem Bezahlung einer Technologie mit der Bedingung an systematische Sammlung und Analyse von Daten gebunden wird, um weitere Entscheidungen zu modifizieren [16]“.

Unter Einbeziehung von InteressensvertreterInnen von Pharmafirmen, PatientInnengruppen, Krankenversicherungen und vor allem von politischen EntscheidungsträgerInnen ergibt sich die Möglichkeit, auf spezielle Entscheidungen abgestimmte Fragestellungen zu beantworten [12, 15]. Durch Auswahl geeigneter Kontrollinterventionen, Studienendpunkte und Studiendauer soll somit die wissenschaftliche Grundlage für effiziente Ressourcenallokation geschaffen werden [17].

Denkbare Anwendungsbereiche für Bedingte Erstattung sind:

- ❖ Für neuartige, erfolgversprechende Technologien ohne ausreichende Datenlage, deren verzögerte Bereitstellung sich im Sinne von Opportunitätskosten als nachteilig erweisen könnte.
- ❖ Bei bereits in Gebrauch befindlichen Technologien ohne ausreichenden wissenschaftlichen Nachweis über deren Wirksamkeit und Sicherheit zunehmend Zweifel entstehen.
- ❖ Bei vorhandenen, aber im klinischen Gebrauch vernachlässigten Technologien, für deren Evaluierung keine marktwirtschaftlichen Interessen bestehen [17].

Vorteil Bedingter Erstattung für EntscheidungsträgerInnen ist, die Möglichkeit Unsicherheiten bezüglich Wirksamkeit von Technologien zu reduzieren, um in weiterer Folge Evidenz-basierte Entscheidungen über Kostenerstattungen zu treffen, und dabei gleichzeitig Patientenforderungen nach modernsten Technologien nachzukommen [4].

Die Anwendung von Bedingter Erstattung wird im Weiteren anhand von drei ausgewählten Ländern - das sind die USA, England und Australien – beschrieben.

unterschiedliche Begriffe aber ein Prinzip: Bezahlung einer Technologie wird an Sammlung und Analyse von Daten gebunden, um weitere Entscheidungen zu modifizieren

mögliche Anwendungsbereiche für neue,

in Gebrauch befindliche

und für vernachlässigte Technologien

Anwendung wird anhand von drei Ländern beschrieben

4 Bedingte Erstattung in ausgewählten Ländern

4.1 USA

4.1.1 Hintergrund

Nichtberufstätige Personen über 65 Jahren haben die Möglichkeit bei Medicare eine staatliche Krankenversicherung abzuschließen. Einkommensschwächere Gruppen und Familien können bei Medicaid, einem von Regierung und Bundesstaaten ko-finanziertem Programm, um Kostenübernahme ansuchen. Medicare und Medicaid sind in den „Centers for Medicare and Medicaid Services“ (CMS) organisiert. Beide Programme werden hauptsächlich durch Einkommenssteuern und durch andere Steuereinnahmen finanziert [18, 19] und sind für die Versorgung von etwa 100 Millionen Versicherten verantwortlich [20].

Staatliche Versicherungen Medicare, Medicaid in CMS organisiert

Bevor CMS die Kostenerstattung für eine Technologie in Erwägung zieht, muss diese von der „Food and Drug Administration“ (FDA) als sicher und wirksam anerkannt und zugelassen worden sein. Zusätzliches Kriterium für CMS ist aber, ob diese für die unter Medicare und Medicaid versicherte Bevölkerung als „angemessen und notwendig“ erachtet wird [21].

Entscheidungen über Kostenerstattung werden in 90% der Fälle von CMS Vertragspartnern im Rahmen von lokalen Entscheidungen (LCDs) getroffen. Bei kontroversiellen Entscheidungen, oder bei regional sehr unterschiedlichem Gebrauch einer Technologie, erlässt CMS nationale Kostenerstattungsentscheidungen (NCD), wobei Kosten und Kosteneffektivität explizit keinen Einfluss auf NCDs haben sollen [22].

**Entscheidungen über Kostenerstattung regional oder national
Kosten spielen dabei keine Rolle**

Anlass für NCDs kann von PatientInnen, Industrie, Ärzteschaft, oder Vertragspartnern kommen oder auch von CMS selbst initiiert werden. Mögliche Evaluierungen betreffen neue oder bereits in Gebrauch befindliche Technologien, über die Unsicherheiten bezüglich der Wirksamkeit entstanden sind, neue Evidenz vorhanden ist, oder deren Indikationsstellungen ausgeweitet werden sollen.

Als beratende Organe für CMS fungieren einerseits das „Medicare Evidence Development and Coverage Advisory Committee“ (MedCAC), das systematische Reviews für CMS erstellt und andererseits die „American Health Quality Association“ (AHQA), die Technologie-Assessments im Auftrag von CMS durchführt [23, 24].

Eine NCD sollte innerhalb von neun Monaten abgeschlossen sein. Danach kann diese noch für 60 Tage beeinsprucht werden, bevor die endgültige Entscheidung veröffentlicht wird.

fünf Möglichkeiten im Rahmen von nationalen Entscheidungen

Im Rahmen einer NCD können fünf Entscheidungen getroffen werden:

1. Keine Änderung.
2. Keine Kostenerstattung.
3. Kostenerstattung.

4. Kostenerstattung nur unter speziellen Bedingungen:
 - a. Nur für gewisse PatientInnen-Subgruppen.
 - b. Nur wenn die Technologie von ausgewählten ÄrztInnen und/oder Institutionen angewandt wird.
 - c. Wenn zusätzliche Daten übermittelt werden, die die Anwendung einer Technologie gemäß den in der NCD beschriebenen Indikationsstellungen belegen.
5. Kostenerstattung erfolgt nur, wenn Daten im Rahmen von, zum Beispiel, klinischen Studien gesammelt werden, die mit erhöhten Sicherheitsvorkehrungen für PatientInnen einhergehen [24].

Meistens betreffen NCDs medizinische Geräte (41%) oder chirurgische Interventionen (23%) [25].

Obwohl NCDs verpflichtend umzusetzen sind und Priorität über LCDs haben, so ist der tatsächliche Einfluss auf die Praxis fraglich, denn es konnte gezeigt werden, dass es, auch nach Erlass von Richtlinien, zu keiner wesentlichen Änderung in der Verwendung von Technologien gekommen ist [26].

4.1.2 Coverage with evidence development

CED Bestandteil von NCDs

Bedingte Erstattung – in den USA sind dabei die Begriffe „conditional coverage“ oder „coverage with evidence development“ (CED) gebräuchlich - ist Bestandteil von NCDs, die Punkt 4c oder Punkt 5 beinhalten. Obwohl das Prinzip von CED schon vorher verwendet worden war, wurden Richtlinien für die Anwendung von CED erst 2005 von CMS erlassen. Diese Richtlinien besagen, dass bei Anwendung dieser Option einige Prinzipien berücksichtigt werden müssen: CED soll nur ausnahmsweise und wenn keine andere Form der Kostenübernahme gerechtfertigt ist, angewandt werden; in einem transparenten Prozess und unter Einbeziehung der Öffentlichkeit, sollen ergänzende, fehlende Daten gesammelt werden; die Anwendung einer Technologie soll unter CED generell ausgeweitet werden [24].

zwei Möglichkeiten im Rahmen von CED

Trifft CMS nun die Entscheidung eine Technologie nur bedingt zu erstatten, so sind zwei Möglichkeiten gegeben: entweder müssen Daten im Rahmen von klinischen Studien („Coverage with Study Participation“ – CSP) erhoben werden, oder bestimmte, im Vorhinein festgelegte Informationen müssen gesammelt werden („Coverage with Appropriateness Determination“ – CAD).

bei ausreichender Evidenz als Kontrollinstrument

CAD Entscheidungen werden getroffen, wenn eine Technologie durch die vorhandene Evidenz angemessen und notwendig erscheint, der Gebrauch aber - bedingt durch NCDs - gewissen Beschränkungen unterliegt. Durch die Übermittlung von weiteren Informationen an Datenbanken oder Register dient CAD in erster Linie als Kontrollinstrument, um zu überprüfen ob die Anwendung von Technologien tatsächlich im Einklang mit NCDs erfolgt.

Im Gegensatz dazu, wird CSP angewandt, wenn Angemessenheit und Notwendigkeit nur unter verstärkten Sicherheitsmaßnahmen für PatientInnen gegeben ist. Anwendung könnte CSP finden, wenn

- ❖ Die verfügbare Evidenz keine Rückschlüsse auf die Auswirkungen auf die unter Medicare versicherte Bevölkerung zulässt.
- ❖ Keine Informationen über den „off-label“ Gebrauch von Technologien vorhanden sind.
- ❖ Studien keine Informationen über in Medicare sehr häufige Patient-Innengruppen oder Krankheiten beinhalten.
- ❖ Die Anwendung von bereits in Gebrauch befindlichen Interventionen oder Geräten ausgeweitet werden soll, dafür aber keine ausreichende wissenschaftliche Basis vorhanden ist.
- ❖ Die vorhandene Literatur eine Anwendung nur bei speziellen Indikationen oder PatientInnengruppen belegt [27].

Die Kosten für die Studien selbst werden prinzipiell nicht von CMS getragen, mit einer 2007 erlassenen Richtlinie, wurde aber festgelegt, dass Routinekosten und Kosten für die fragliche Technologie bezahlt werden, wodurch ein Anreiz für Industrie und andere Interessensvertreter geschaffen werden sollte, Studien durchzuführen [28]. Um wissenschaftliche Forschungsaktivitäten auf Bereiche zu lenken, für die laut CMS ungenügende Daten existieren, wird unter Zusammenarbeit mit der „Agency for Healthcare Research and Quality“ (AHRQ), MedCAC und anderen Einrichtungen eine Prioritätenliste erstellt [29].

Damit die Kosten tatsächlich von CMS übernommen werden, müssen Studien entweder gewissen CMS Richtlinien entsprechen, oder für CMS relevante Daten müssen an Register geleitet werden. Um zu gewährleisten, dass Studien auch auf Fragestellungen von CMS abgestimmt sind, fungiert die AHRQ als Kontrollorgan [28].

Bei klinischen Studien ist die Dauer, für die CED bewilligt wird, vom Studienprotokoll abhängig. Nach Ende der Studie gelten wieder dieselben Bestimmungen, die vor Einleitung der NCD Gültigkeiten hatten. Erst nach Publizierung der Ergebnisse in „Peer-reviewed“ Journalen werden diese in der Nachprüfung von NCDs berücksichtigt.

Wie lange Daten an Register übermittelt werden sollen, hängt primär davon ab, wie schnell Informationen zur Beantwortung der in den NCDs gestellten Fragen gesammelt werden können. Auch hier gilt, dass die Ergebnisse zuerst in wissenschaftlichen Journalen veröffentlicht werden müssen, bevor sie etwaige Änderungen von NCDs bewirken [27] (siehe auch Tabelle 4.3.-1).

bei nicht ausreichender Evidenz Anwendung einer Technologie nur unter verstärkten Sicherheitsmaßnahmen für PatientInnen, wie z.B. im Rahmen von Studien

CMS übernimmt Routinekosten, aber nicht Kosten für Studien

Studien müssen CMS Richtlinien entsprechen

Dauer abhängig vom Studienprotokoll

4.1.3 Fallbeispiele

<p>18-24 NCDs pro Jahr CED an die acht Mal</p>	<p>Im Schnitt werden jährlich 18-24 NCDs von CMS erlassen [30], wobei aber seit Erlass der Richtlinien in 2005, CED explizit nur an die acht Mal verwendet wurde [31, 32](siehe Tabelle 4.1-1). Obwohl Tunis - als ehemaliger Mitarbeiter bei CMS maßgeblich an der Entwicklung von NCD Richtlinien beteiligt [33] - der Meinung ist, dass die mit CED verbundenen Studien in den meisten Fällen nicht ausreichend gute Datenqualität erzeugen konnten, um zukünftige Entscheidungen über Kostenerstattung zu treffen, ist er doch weiterhin optimistisch, dass damit prinzipiell ein hilfreiches Instrument zur Verfügung steht [34].</p>
<p>erstes Beispiel: NETT Studie</p>	<p>Eines der ersten und wenigen Beispiele – allerdings vor Erlass der Richtlinien - das tatsächlich Auswirkungen auf die Anwendung einer Technologie hatte, ist das „National Emphysema Treatment Trial“ (NETT).</p> <p>In den 1990er Jahren gewann ein operativer Eingriff zur Verkleinerung des Lungenvolumens (LVRS) zur Behandlung von fortgeschrittenem Lungenemphysem zunehmend an Bedeutung. Obwohl lediglich einige kleine Fallstudien mit kurzem Follow-up vorhanden waren, breitete sich die Anwendung von LVRS zwischen 1993 und 1996 rasant aus. CMS beschloss daraufhin, dass vor Aufnahme dieses Verfahrens in den Leistungskatalog weitere Studien zum Nachweis der Wirksamkeit nötig seien. Konsequenz war, dass der Zugang zu LVRS PatientInnen nur im Rahmen von NETT, einem Multi-Center RCT, möglich gemacht wurde. Die für den Eingriff entstehenden Kosten wurden - damals noch ausnahmsweise - von CMS, die Kosten für die Durchführung des RCTs vom Nationalen Institut für Gesundheit (NIH) übernommen [35].</p> <p>Ziel dieser sieben Jahre dauernden und in Kollaboration mit dem „National Heart, Lung and Blood Institute“ durchgeführten Studie war es, die Langzeiteffektivität von LVRS zu untersuchen, als auch Vergleiche zu anderen operativen und medikamentösen Therapien ziehen zu können. In einer Zwischenanalyse der vorläufigen Ergebnisse wurden PatientInnengruppen identifiziert, die nach LVRS erhöhte Mortalitätsraten aufwiesen, sodass PatientInnen mit denselben Charakteristika von der weiteren Studienteilnahme ausgeschlossen wurden. Basierend auf den Endergebnissen von NETT, wurde letzten Endes die Kostenerstattung nur für PatientInnen-Subgruppen, die in ausgewählten Zentren operiert werden, übernommen.</p>
<p>Kostenübernahme nur für bestimmte PatientInnengruppen</p>	<p>Die mit NETT verbundenen Kosten sind nicht genau bezifferbar. Die Behandlungskosten sollen sich aber auf etwa US \$ 100 Millionen und die für die Durchführung der Studie auf US \$ 35 Millionen belaufen haben [36]. Durch die Ergebnisse der Studie und durch die Beschränkung von LVRS, konnte eine deutliche Reduktion in der Frequenz von LVRS erreicht werden. Schätzungen ergeben, dass, wenn die Anzahl der Eingriffe stabil geblieben wären, sich die LVRS-Kosten für Medicare pro Jahr auf US \$ 150 Millionen belaufen hätten – mehr als die Gesamtkosten für NETT [36].</p>
<p>Kosten für CMS US \$ 100 Millionen</p>	<p>Ein weniger erfolgreiches Beispiel ist ein Register, das zur Evaluierung von implantierbaren Kardio-Defibrillatoren (ICD) dienen sollte. Dieses Register ist auf einige wenige Basisdaten beschränkt, da sich die Finanzierung der erforderlichen Mittel von US \$ 3.5 Millionen schwierig gestaltet hatte. Im Ver-</p>
<p>Probleme mit Finanzierung</p>	

gleich dazu: allein in den USA werden täglich US \$ 8 Millionen für die Implantierung von ICDs ausgegeben [10].

Ein anderes Beispiel ist die Evaluierung von Positronen-Emissions-Tomographie (PET) zur Diagnostik von Demenz. Erst mit mehreren Jahren Verzögerung konnten sowohl ausreichende Mittel, als auch ein für CMS akzeptables Studienprotokoll gefunden werden [36].

Tabelle 4.1-1: Beispiele für CED

Technologie	Manual Nummer	Datum	Indikation	Status
Continuous Positive Airway Pressure (CPAP) Therapy for Obstructive Sleep Apnea (OSA)	240.4	März 2008	CED für spezielle Subgruppen, die nicht primäre Indikationen erfüllen	Nur im Rahmen von Studien
Artificial Hearts and Related Devices	20.9	Jänner 2008	Für Überbrückung bis zu Transplantation oder als Dauertherapie	Nur im Rahmen von Studien
Home Use of Oxygen in Approved Clinical Trials	240.2.1	März 2006	Nur im Rahmen von Studien	Studie finanziert von NHLBI
Cochlear Implantation	50.3	Juli 2005	CED für PatientInnen-Subgruppen	Studien, aber bisher keine initiiert
Chemotherapy for Colorectal Cancer	110.17	Jänner 2005	Off-label Gebrauch von Oxaliplatin, Irinotecan, Cetuximab, oder Bevacizumab	Klinische Studie gesponsert vom National Cancer Institute
PET (FDG) for Brain, Cervical, Ovarian, Pancreatic, Small Cell Lung, and Testicular Cancers	220.6.14	Jänner 2005	CED für spezielle Indikationen	Nationales PET Register
PET (FDG) for Dementia and Neurodegenerative Diseases	220.6.13	Jänner 2005	CED für spezielle Indikationen	Klinische Studie mit Fokus auf Nutzen von FDG-PET in Diagnose und Therapie von dementiellen, neurodegenerativen Erkrankungen
Implantable Automatic Defibrillators	20.4	Jänner 2005	CED für primäre Prävention	Anfangs geknüpft an Datenübermittlung zu vorbestehender Datenbank; in weiterer Folge Register oder klinische Studie

Quelle: Centers for Medicare and Medicaid Services – Medicare Coverage Database, Annual Report

4.2 England

4.2.1 Hintergrund

**NHS: öffentliches
Gesundheitssystem**

In Großbritannien ist das öffentliche Gesundheitssystem (NHS) hauptsächlich durch Steuern finanziert [37]. Das NHS zählt an die 50 Millionen Versicherte und ist damit einer der größten öffentlich finanzierten Gesundheitsdienste weltweit.

**NICE evaluiert
Kosteneffektivität,
Sicherheit, Wirksamkeit
von Technologien**

Die Zulassung von Medikamenten oder Geräten obliegt üblicherweise der Agentur für Medikamente und Gesundheitsprodukte (MHRA) [38]. Nach Bescheinigung von Wirksamkeit und Sicherheit einer Technologie, werden die einzelnen Produkte meist auf lokaler Ebene beurteilt und über deren Erstattung entschieden [38].

**die signifikante
Auswirkungen haben
könnten**

Sollte es zu regional unterschiedlichen Verschreibungspraktiken kommen, oder Unsicherheit bezüglich Wirksamkeit, Sicherheit oder Kosteneffektivität eines Produktes bestehen, erhält das „National Institute for Health and Clinical Excellence“ (NICE) den Auftrag, Empfehlungen für Implementierung oder Ablehnung einer Technologie zu geben. Obwohl Themenvorschläge von KlinikerInnen, PatientInnen, oder der Öffentlichkeit kommen können, so wird NICE doch letztendlich vom Gesundheitsministerium beauftragt. Generell kommen alle Technologien, wie Medikamente, Interventionen oder medizinische Geräte in Frage, das tatsächliche Aufgabengebiet beschränkt sich jedoch auf Technologien, die signifikante soziale oder finanzielle Auswirkungen auf das NHS haben, oder für die der frühzeitige Erlass von Anwendungsrichtlinien positive Auswirkungen haben soll [39].

**klinische Wirksamkeit
und Kosteneffektivität**

NICE ist entsprechend seinem Aufgabenbereich, i.e. Entwicklung von nationalen Richtlinien für Gesundheitsförderung, Prävention und Anwendung von Therapien, in drei Abteilungen gegliedert. Eine davon, das Zentrum für Evaluierung von Gesundheitstechnologien, ist sowohl für die Beurteilung von neuen, als auch von bereits in Verwendung befindlichen Geräten, Pharmazeutika, diagnostischen Tests und chirurgischen Interventionen zuständig.

**Cooksey – Report:
bessere Vernetzung von
wissenschaftlichen
Aktivitäten**

Basierend auf Reviews, die von unabhängigen akademischen Institutionen im Auftrag von NICE durchgeführt werden, muss neben klinischer Wirksamkeit auch Kosteneffektivität miteinbezogen werden.

Unterstützt wird NICE vom „Research & Development Programme“ (R&D), das einerseits die Implementierung von NICE Empfehlungen überwachen, als auch wissenschaftliche Aktivitäten koordinieren soll, um von NICE identifizierte Fragestellungen zu beantworten. Basierend auf dem im Dezember 2006 veröffentlichten „Cooksey-Report“, der eine bessere Vernetzung wissenschaftlicher Aktivitäten empfahl, wurde außerdem das Nationale Institut für Gesundheitsforschung (NIHR) gegründet, dessen Health Technology Assessment Programm speziell für auf das NHS zugeschnittene Fragestellungen bearbeitet [40, 41].

Generell gilt, dass NICE nicht die Kosten für klinische Studien übernimmt, es sei denn „das zu untersuchende Thema ist wichtig für NICE, aber nicht für andere, dann können Studien von NICE selbst finanziert werden [42]“.

Drei mögliche Empfehlungen können anhand von klinischer Wirksamkeit und Kosteneffektivität von NICE abgegeben werden:

- ❖ Routine Anwendung im NHS wird empfohlen (entweder für alle zugelassenen Indikationen, nur für spezielle Indikationen, nur für bestimmte PatientInnen - Subgruppen).
- ❖ Keine Routine Anwendung.
- ❖ Anwendung nur im Rahmen von klinischen Studien, um Fragestellungen bezüglich Kosten-Nutzen oder Anwendung in bestimmten Zielgruppen zu beantworten [39].

drei Empfehlungen möglich

Diese Richtlinien sind national bindend und müssten im Falle einer positiven Empfehlung innerhalb von drei Monaten vom NHS umgesetzt werden. Obwohl NICE keine Preisempfehlungen abgibt, wird aber als inoffizieller Schwellenwert für eine uneingeschränkte Anwendung £ 20.000 pro qualitätskorrigiertem Lebensjahr angenommen [43].

4.2.2 Only in research

NICE hatte in den England von jeher das Recht, den Gebrauch einer Technologie mit der Bedingung nach weiteren Daten zu verknüpfen [39], wobei sich dafür der Begriff „only in research“ (OIR) als Synonym eingebürgert hat. In den NICE Richtlinien wird dieses Prinzip in dem Kapitel „dealing with uncertainty“ erörtert. Die Diskussion um Definierung von Richtlinien für den Gebrauch von OIR ist aber weiterhin in vollem Gange [44, 45].

only in research

Ähnlich wie in den USA gilt dabei auch, dass diese Alternative nur bei potentiell erfolgversprechenden Technologien, für die noch keine ausreichende Datenlage besteht, zur Anwendung gelangen soll. Aufgabe von NICE ist es dann:

nur bei potentiell erfolgversprechenden Technologien

- ❖ eine Empfehlungen abzugeben weitere Forschung durchzuführen,
- ❖ mögliche relevante Fragestellungen zu formulieren,
- ❖ in der Zwischenzeit KlinikerInnen eine Anwendung der fraglichen Technologie nur im Rahmen von Forschungsprojekten zu empfehlen [46].

Sollten Unsicherheiten nur in Bezug auf die Anwendung einer Technologie im klinischen Alltag bestehen, so kann in den ersten drei Jahren eine breitere Anwendung, gekoppelt an die Bedingung weitere Daten zu generieren, erlaubt werden. Neben medizinischen Geräten kann OIR aber auch für operative Eingriffe, Medikamente sowie bei der Entwicklung von klinischen und gesundheitsfördernden Richtlinien verwendet werden [47].

nicht nur für medizinische Geräte

**generell keine
Kostenübernahme**

Die von NICE identifizierten Forschungsgebiete werden vom internen „Research and Development Advisory Committee“ priorisiert und an Organisationen weitergeleitet, die die Finanzierung von Studien übernehmen könnten [48]. Zwar sind die Kosten für Evidenzgenerierung generell von den um Kostenübernahme ansuchenden Organisationen zu tragen, wobei Rücksprache mit dem Gesundheitsministerium gehalten werden soll, in welcher Form Daten am besten erhoben werden können, bei Fehlen eines Sponsors obliegt es aber dem Gesundheitsministerium, das NHS „R&D“ Programm mit Forschungsaufträgen zu betrauen [46].

Bemerkenswert ist, dass es zwar einen vorgegebenen Zeitraum gibt, in dem NICE Richtlinien umgesetzt werden müssen – das sind drei Monate – aber keine Bestimmungen, die von NICE empfohlenen Forschungsprojekte umzusetzen [49]. OIR sollte zwar nur ein vorübergehendes Arrangement sein, bisher gibt es aber keinen festgelegten Zeitrahmen [46]. Während einer von NICE initiierten Bürgerversammlung zum Thema OIR, wurde in diesem Zusammenhang auch besprochen, dass OIR möglicherweise nur für Technologien angewandt werden sollte, wenn Studien bereits geplant sind, bereits am Laufen sind oder rasch umgesetzt werden können [44].

Obwohl bisher nicht festgelegt ist, welche Studien tatsächlich Anwendung finden könnten, so wird von Manchen argumentiert, dass im Gegensatz zu CED, der Gebrauch einer Technologie unter OIR strengeren Auflagen - zum Beispiel im Rahmen von RCTs - unterliegt [16].

**wenn Studien nicht
bereits laufen, Gefahr
dass OIR einer
Ablehnung gleichkommt**

Obwohl zwar bei jeder NICE Empfehlung der Zeitraum für eine Review angegeben wird, dies beträgt aus Erfahrung zwischen einem und fünf Jahren [50], besteht aber in Abwesenheit von speziell für wissenschaftliche Projekte bereitgestellter Mittel die Gefahr, dass eine OIR Empfehlung einer Ablehnung gleichkommt, vor allem, wenn Fragestellungen nicht bereits durch laufende Studien behandelt werden. Da sich OIR nicht nur für Evaluierung von Industrie gesponserten Produkten eignet, sondern auch für die Beurteilung von Public Health Strategien und für die Bewertung von bereits in Verwendung befindlicher Technologien, stellt sich umso mehr die Frage nach der Finanzierung [49] (siehe auch Tabelle 4.3.-1).

4.2.3 Fallbeispiele

**OIR in etwa 26% aller
NICE Empfehlungen**

Obwohl NICE seit jeher die Möglichkeit hatte, OIR zu empfehlen, wurde von dieser Befugnis bis Ende 2007 in nur 21 (26%) aller Entscheidungen Gebrauch gemacht [51](siehe Tabelle 4.2-1). Bis Anfang 2007, erhielten von den insgesamt 16 OIR Empfehlungen für Technologiebewertung, fünf einen positiven Bescheid und in 10 Fällen wurde die Empfehlung umgesetzt, mehr Evidenz zu sammeln [49]. Davon waren in drei Fällen Studien bereits geplant und in den restlichen sieben wurden die Studien von den NICE Empfehlungen zumindest beeinflusst [10].

Beispiele für OIR

Ein Beispiel, das schlussendlich eine positive Empfehlung bekommen hatte, ist die laparoskopische Operation von Dickdarmkrebs. In 2000 erhielt NICE den Auftrag die konventionelle, „offene“ Operationsmethode von Dick-

darmkrebs mit dem laparoskopischen Verfahren zu vergleichen. Die nur unzureichend vorhandene Literatur, ließ lediglich den Schluss zu, dass mit Laparoskopie möglicherweise ein effektives und kosteneffizientes Verfahren als Alternative vorhanden sei. Aufgrund der damit verbundenen hohen Unsicherheit vor allem bezüglich Langzeitfolgen empfahl NICE jedoch, die laparoskopische Methode nur im Rahmen eines RCTs zugänglich zu machen. KlinikerInnen wurden aufgefordert, die breite Anwendung zu verzögern und PatientInnen für laufende Studien zu rekrutieren. Unter anderem konnte mit dem vom medizinischen wissenschaftlichen Rat (Medical Research Council) finanzierten „CLASICC Trial“ ausreichend Evidenz gesammelt werden. 2006 erließ NICE schließlich die positive Empfehlung laparoskopische Resektion von Kolo-rektal Krebs als Therapiealternative breit zugänglich zu machen [52].

Ein Beispiel das bisher noch zu keiner definitiven Entscheidung geführt hat, ist eine Studie über Behandlung von Makulardegeneration mit Verteporfin photodynamischer Therapie. Um Unsicherheiten bezüglich Kosteneffektivität und Lebensqualität in PatientInnen-Subgruppen zu reduzieren, wurde eine vom R&D Programm finanzierte Kohortenstudie initiiert. Trotz der zweifellos nützlichen Informationen, die letztendlich gesammelt worden waren, wird rückblickend bezweifelt, ob das Studiendesign tatsächlich die nötige Datenqualität geliefert hatte und ob eine pragmatische klinische Studie (PCT) nicht wertvollere Daten liefern hätte können [45].

Tabelle 4.2-1: Beispiele für OIR

1.Einreichungsnummer	Technologie	Ersteinreichung	2.Einreichungsnummer	Zweiteinreichung	Derzeitiger Status
TA2	Hip disease – replacement prostheses	April 2000 Register	Siehe TA44		
TA05	Cervical cancer - liquid based cytology	Juni 2000 Weitere Studien	TA69	Oktober 2003	Positive Empfehlung
TA 06	Breast cancer – taxanes	Juni 2000 Taxane nur im Rahmen von klinischen Studien	TA 30	September 2001	Positive Empfehlung für Second-line Therapie OIR für nicht in UK zugelassene Taxane nur im Rahmen von randomisierten, klinischen Studien
TA 16	Cartilage injury – autologous chondrocyte implantation (ACI) (review)	Dezember 2000 Studie	TA 89	Mai 2005	Weitere Studien
TA 17	Colorectal cancer – laparoscopic surgery	Dezember 2000 RCT	TA 105	August 2006	Positive Empfehlung
TA 23	Brain cancer temozolide	April 2001 Als First-line Therapie nur in Studien	-	Dezember 2004	Review verschoben, Resultate aus Medical Research Council Studie erwartet
TA33	Colorectal Cancer (advanced) - irinotecan, oxaliplatin & raltitrexed	März 2002 Zulassung nur für spezielle PatientInnengruppen	TA93	August 2008	Positive Empfehlung für Oxaliplatin und Irinotecan nach FOCUS Studie OIR für Raltitrexed nur im Rahmen klinischer Studien
TA35	Arthritis (juvenile idiopathic) - etanercept	März 2002 Register	-	März 2005	Review verschoben, Keine neue Evidenz zu erwarten
TA44	Hip disease – metal on metal hip resurfacing	Februar 2005 Register	-	August 2005	Review verschoben, noch keine ausreichenden Daten aus Register

1.Einreichungsnummer	Technologie	Ersteinreichung	2.Einreichungsnummer	Zweiteinreichung	Derzeitiger Status
TA46	Obesity (morbid) – surgery	Juli 2002 Datenbanken	CG43	Dezember 2006	Erlass von Guidelines
TA51	Computerised cognitive behaviour therapy for depression and anxiety	Oktober 2002 Pilot Studien, PatientInnen Präferenzen, Bedarf, für welche PatientInnengruppen geeignet	TA97	Februar 2006	Positive Empfehlung für zwei Interventionen, OIR im Rahmen von klinischen Studien für zwei andere Interventionen
TA65	Non-Hodgkin's lymphoma - rituximab	September 2003 Studien für PatientInnen mit speziellen Indikationen	-	November 2006	Weitere Evidenz wird nicht erwartet - inaktiv
TA68	Macular degeneration (age related): Photodynamic therapy	September 2003 Positive Empfehlung, klinische Studie für PatientInnen mit okkulten subfovealen, choroidalen Neovaskularisation	-	März 2007	Review wurde verschoben bis zum Vorliegen von Ergebnissen einer relevanten Kohortenstudie
TA70	Leukaemia (chronic myeloid) - imatinib	Oktober 2003 Register	-	Dezember 2006	Review wurde verschoben da Ergebnisse von Studien 2007/08 erwartet werden
TA72	Rheumatoid arthritis - anakinra	November 2003 Studie	-	September 2006	Fließt in Guidelines ein, erwartet 2009
TA92	Tooth decay – HealOzone	Juli 2005 Studie	-	Oktober 2008	Review verschoben

Quelle: NICE – Technology Appraisals, Published Appraisals

4.3 Australien

4.3.1 Hintergrund

**Medicare ist staatliche
Krankenversicherung**

Jeder australische oder neuseeländische Bürger, oder Personen, die ein permanentes Visum haben, sind bei Medicare, der staatlichen Krankenversicherung in Australien versichert – das waren 2005 an die 20 Millionen Versicherte [53]. Die Finanzierung erfolgt hauptsächlich durch Steuern und in geringerem Umfang durch an das Gehalt gekoppelte Abgaben. Zusätzlich wurden 2005 33% der Gesundheitsausgaben privat finanziert [54].

Entscheidungen über die Aufnahme einer Technologie in den Leistungskatalog von neuen oder zukünftigen Technologien zu treffen, fällt in den Aufgabenbereich des Australischen Gesundheitsministerium. Jedes therapeutische Produkt muss zunächst im Australischen Register für therapeutische Güter zugelassen werden. Dabei werden Qualität, Sicherheit, Effektivität und Verfügbarkeit geprüft [55].

Damit Medikamente von Medicare bezahlt werden, müssen diese auch hinsichtlich ihrer Kosteneffektivität evaluiert werden. Die „Pharmaceutical Benefits Pricing Authority“ gibt im Falle eines positiven Bescheids auch Preisempfehlungen an das Gesundheitsministerium ab [56].

**MSAC prüft
Wirksamkeit, Sicherheit
und Kosteneffektivität
von hauptsächlich
neuen Technologien**

Als beratendes Organ für den/die GesundheitsministerIn in Bezug auf Geräte und Interventionen fungiert das 1998 gegründete „Medical Services Advisory Committee“ (MSAC). Dessen Aufgabe ist, Evidenz zu Wirksamkeit, Sicherheit und Kosteneffektivität von Technologien zu überprüfen, für die um Kostenübernahme angesucht worden war [14].

Generell werden Empfehlungen für neue Technologien entwickelt und nur in Ausnahmefällen können auch bereits in Gebrauch befindliche Technologien evaluiert werden [14]. Obwohl Anträge von Produzenten, Angehörigen von Gesundheitsberufen oder anderen an Finanzierung von Geräten oder Interventionen interessierten Gruppen gestellt werden können, so ist doch die Industrie Hauptantragsteller [57]. Daneben wird das MSAC auch vom Gesundheitsministerium selbst mit der Durchführung von Reviews („References“) beauftragt [58]. Basierend auf systematischen Literaturanalysen und Kosteneffektivitätsanalysen können drei mögliche Empfehlungen an den/die GesundheitsministerIn übermittelt werden:

**drei mögliche
Empfehlungen**

1. Kostenübernahme.
2. Keine Kostenübernahme.
3. Vorübergehende Kostenübernahme bei nicht ausreichender Datenlage, aber mit Hinweisen, dass die Technologie kostengünstiger, sicherer und wirksamer als der derzeitige Standard ist, um weitere Evaluierung zu ermöglichen.

Als Zeitrahmen für die Dauer einer Evaluierung durch das MSAC wird lediglich darauf verwiesen, dass dies abhängig von der Vollständigkeit des Antrages und der Qualität der verfügbaren Evidenz ist [59]. Durchschnittlich betrug die Dauer aber von Antragstellung bis zur endgültigen Aufnahme in den Leistungskatalog 17.8 Monate. Im Schnitt werden pro Jahr an die 19 Anträge gestellt [58], wobei hauptsächlich neue oder in Entwicklung befindliche Technologien evaluiert werden. Basierend auf den Empfehlungen von MSAC wird auch der Betrag festgelegt, mit dem eine Technologie von Ministerium vergütet wird [60].

anhand von MSAC-Empfehlungen Festlegungen des Betrags für Technologien

4.3.2 Interim funding

Schon bei der Gründung von MSAC in 1998 wurde in den Richtlinien die Möglichkeit von Bedingter Erstattung für neue oder erfolgversprechende Technologien definiert. Seit 1999 werden Entscheidungen über „interim funding“ anhand von Richtlinien getroffen, wobei aber weiterhin Stellungnahmen von diversen Interessensgemeinschaften willkommen sind, um diese zu verbessern [60].

Wenn beweiskräftige Daten in Bezug auf Sicherheit, Wirksamkeit und Kosteneffektivität zur Technologie fehlen, kann MSAC „interim funding“ empfehlen. Allerdings darf es keine national oder international laufenden Studien geben, die bestehende Unsicherheiten reduzieren könnten und folgende Kriterien müssen erfüllt sein:

Kriterien für „interim funding“

- ❖ Bedarf: Wenn ein signifikanter Effekt auf Mortalität und/oder Morbidität erwartet werden kann.
- ❖ Effektivität: Es Hinweise gibt, dass die Technologie zumindest kurzfristig wirksam ist.
- ❖ Sicherheit: Die vorhandene Evidenz kurz-, oder mittelfristige Sicherheit demonstrieren konnte.
- ❖ Kosteneffektivität: die Technologie entweder gleich wirksam aber billiger als eine Vergleichsintervention ist, oder teurer, aber dafür proportional effektiver.

Zusätzliche Studien müssen ferner das Potential besitzen, Unsicherheiten reduzieren und relevante Antworten geben zu können; Kosten müssen in Relation zum erwarteten Wert stehen, i.e. zu der erwarteten Anwendung in Medicare; es darf keinen anderen Finanzierungsweg geben und fehlende Informationen dürfen auch nicht aus anderen Quellen verfügbar sein.

Sollte letztendlich „interim funding“ gewährt werden, kann die Kostenerstattung mit folgenden Konditionen verknüpft werden:

Verknüpfung mit Konditionen möglich

- ❖ Nur für bestimmte PatientInnengruppen, Kliniken, oder ÄrztInnen.
- ❖ Nur im Rahmen von klinischen Studien.

- ❖ Datensammlung im Rahmen eines von MSAC anerkannten Studienprotokolls.
- ❖ Die Höhe der Kostenübernahme wird durch die tatsächlich entstehenden Kosten bestimmt.

Inwieweit MSAC in die Erhebung von Daten involviert ist, hängt hauptsächlich davon ab, inwieweit Sponsoren oder andere Organisationen in der Lage sind, diese selbst zu bezahlen und durchzuführen.

Basisaufgaben von MSAC sind in jedem Falle die Formulierung der wichtigsten Fragestellungen, die Bewilligung des Studienprotokolls und die regelmäßige Überprüfung der intermediären Ergebnisse. Damit einhergehend werden auch Entscheidungen gefällt, ob nicht bereits ausreichende Informationen vorliegen, um eine Technologie entweder abzulehnen, anzunehmen, oder ob „interim funding“ nach wie vor berechtigt ist [60].

**„interim funding“ meist
für drei Jahre**

Folgt der/die GesundheitsministerIn der MSAC Empfehlung nach „interim funding“, so werden die Kosten, meist für drei Jahre, übernommen [58].

Obwohl MSAC Daten von RCTs als beste Evidenz betrachtet, werden auch andere Studiendesign wie Kohortenstudien unterstützt. Nach drei Jahren werden unter Berücksichtigung der zusätzlichen Evidenz die Kosten entweder dauerhaft übernommen, die Technologie nicht abgegolten, oder „interim funding“ neuerlich verlängert [60] (siehe auch Tabelle 4.3.-1).

Tabelle 4.3-1: Hauptcharakteristika der verschiedenen Modelle im Vergleich

	USA	England	Australien
Begriff	„Coverage with evidence development“	„only in research“	„interim funding“
Wer	CMS	NICE	MSAC
Art der Technologie	Interventionen, Gerätschaften, Medikamente nur für Verwendung außerhalb der Zulassung durch FDA	Neue und bereits in Gebrauch befindliche Medikamente, Interventionen, Gerätschaften, gesundheitsfördernde Aktivitäten	Interventionen, Gerätschaften
Studienart	Klinische Studien, Register	Nicht definiert	Klinische Studien
Finanzierung von weiterer Evidenz	Sponsoren, CMS übernimmt Routinekosten und Kosten für Technologie	Sponsoren, in Ausnahmen Gesundheitsministerium	Sponsoren oder andere Interessensvertreter
Dauer	Abhängig vom Studiendesign	Nicht definiert	Meist 3 Jahre, danach Reevaluierung
Studienendpunkte	Je nach Fragestellung, aber keine explizite Erhebung von Kosteneffektivität	Je nach Fragestellung, aber immer Kosteneffektivität	Je nach Fragestellung, aber immer Kosteneffektivität
Life cycle	Neue sowie bereits in Gebrauch befindliche Technologien deren Anwendung ausgeweitet werden soll	Neue Technologie, oder bereits in Gebrauch befindliche für neue Indikationsstellungen	Neue Technologien, nur in Ausnahmefällen bereits in Gebrauch befindliche

4.3.3 Fallbeispiele

Im Schnitt werden pro Jahr an die 19 Anfragen an MSAC gestellt [58], wobei 2003-4 in 8% und 2005-2006 in 13% der Fälle Bedingte Erstattung empfohlen wurde [57]. Obwohl es zu einigen definitiven (positiven) Entscheidungen gekommen ist, wurden endgültige Entscheidungen nach Ablauf der drei Jahre oft nicht getroffen, sondern stattdessen „interim funding“ lediglich verlängert (siehe Tabelle 4.3-2).

Eines der Beispiele, das zu Kostenerstattung geführt hat, ist die Anwendung von Kapselendoskopie zur Diagnose von gastrointestinalen Blutungen. 2002 wurde MSAC beauftragt eine Evaluierung dieser Methode durchzuführen. Die erste Empfehlung lautete, Kapselendoskopie nur im Rahmen von Bedingter Erstattung zugänglich zu machen, wenn nach vorhergehender Kolono- und Gastroskopie die Blutungsquelle nicht identifiziert werden konnte [61].

Durch Zusammenarbeit zwischen dem Hersteller der Technologie und der australischen Gastroenterologengesellschaft wurde 2004 die „Pillcam Datenbank“ eingerichtet, in die Daten von 2.949 PatientInnen eingespeist wurden. Nach Auswertung zeigte sich nicht nur eine bessere Kosteneffektivität

**„interim funding“ in 8%
- 13% aller MSAC
Empfehlungen**

Beispiele

als ursprünglich angenommen, sondern auch erhöhte klinische Wirksamkeit. Anfang 2008, wurde nach Vorliegen der Ergebnisse dieses Diagnosemittel schließlich zur Abklärung unklarer Darmblutungen permanent in den Medicare Leistungskatalog aufgenommen. Der Entwickler dieser Technologie wird sich aber auch weiterhin durch Auswertung der vorhandenen Daten, um Zulassung für zusätzliche Indikationsstellungen bemühen [62].

In diesem Beispiel konnte der Hersteller der Technologie zwar in die Datenerhebung mit eingebunden werden, allerdings könnte durch die Tatsache, dass die Aufnahme eines Produktes in den Leistungskatalog auch für andere, ähnliche Produkte gilt, der Anreiz für Erstantragssteller reduziert werden, in die für Kostenübernahme erforderlichen Studien zu investieren [58].

Tabelle 4.3-2: Beispiele für interim funding

Technologie	Dokumentennummer	1. Empfehlung	2. Dokumentennummer	Wiedereinreichung	Derzeitiger Status
Trans Urethral Needle Ablation for benign prostate hyperplasia	1014	Februar 2002			Daten über Sicherheit und PatientInnen-Charakteristika
Directional, vacuum-assisted breast biopsy	1015	Oktober 1999			Kostenerhebung, bis zum Vorliegen der Daten, bessere Entgeltung des Eingriffs als im MBS definiert
Near patient cholesterol testing using the Cholestech LDX	1026	August 2001			Monitoring und Review im niedergelassenen Bereich um Anwendung nur für spezielle Indikationen zu gewährleisten
Brachytherapy for the treatment of prostate cancer	1029	November 2000: Interim funding für spezielle PatientInnen-Subgruppen	1089	Mai 2005	Interim funding
Deep brain stimulation for symptoms of advanced Parkinson's disease	1031	April 2001 Klinische Studie	1092	Mai 2006	Positiv
Intravascular Brachytherapy – Commercial-in-Confidence Application	1041	August 2002			Daten zu Kosteneffektivität, Sicherheit, Wirksamkeit
Hyperbaric Oxygen Therapy	1018-1020	November 2000 Positive Empfehlung für einige Indikationen, negativ: non-diabetic wounds and soft tissue radionecrosis	1054 (für ehemals negative Indikationen)	Mai 2003	Interim funding da keine Therapiealternativen; Ergebnis einer laufenden Studie wird erwartet
M2A capsule endoscopy – evaluation of obscure GI bleeding	1057	August 2003 Interim funding mit speziellen Indikationsstellungen	1119 Pillcam Kapselendoskopie für die Überwachung von Peutz-Jeghers Syndrom	Oktober 2007	positive Empfehlung

Technologie	Dokumentennummer	1. Empfehlung	Wiedereinreichung	2. Dokumentennummer	Derzeitige Empfehlung
Sentinel Node Bi-opsy for Breast Cancer	1065	März 2005			Interim funding bis zu Vorliegen der Ergebnisse einer laufenden Studie, Review nach 5 Jahren
SIR-Spheres for the treatment of non-resectable liver tumours (Wiedereinreichung nach ursprünglicher Absage: 1034)	1082	August 2005			Weitere Daten zu Überlebensrate; Interim funding nur für first-line treatment bei PatientInnen-Subgruppen
Uterine artery embolisation for the treatment of symptomatic uterine fibroids	1081	Jänner 2006			Interim funding; Review innerhalb der nächsten 5 Jahre
Breast magnetic resonance imaging	1098	November 2006			Studie Unter bestimmten Indikationen
References:					
PET	2	März 2000	10 part 2 (i) 10 part 2 (ii)	Mai 2001 August 2001	Interim funding für bestimmte Indikationen
Intraoperative transoesophageal echocardiography	8	Mai 2002			Interim funding für bestimmte Indikationen bis 2005 (kein Re-assessment vorhanden)
Vertebroplasty	27	August 2005			Interim funding

Quelle: MSAC – Completed Assessments

5 Kritische Fragen

Wie in den vorigen Kapiteln dargestellt, wird das Konzept von Bedingter Erstattung in den beschriebenen Ländern teils unterschiedlich, teils ident gebraucht. Obwohl es zumindest in zwei Ländern bereits Richtlinien für die Anwendung von Bedingter Erstattung gibt, werden nach wie vor einige Fragen intensiv diskutiert, die entscheidend für den Erfolg dieses Steuerungsinstruments sein dürften. Einige der, in der Literatur erörterten Problemstellungen, sollen in weiter Folge ausführlicher besprochen werden.

5.1 Art der Technologie

Zulassungsbestimmungen für Medikamente sind meist streng reglementiert und erfordern ohnehin gut geplante und robuste Studien. Dennoch könnte durch im Rahmen von Bedingter Erstattung durchgeführter Kosteneffektivitätsanalysen, über den reinen Wirksamkeitsnachweis hinaus, ein weiterer Beitrag zur Entscheidungsfindung geleistet werden [63]. Zusätzlich könnten durch adäquate Studiendesigns (Register, pragmatische klinische Trials,..) auch Informationen über Effektivität unter Realbedingungen und nicht unter idealen, standardisierten Bedingungen erhoben werden [17].

**nicht nur für
Medikamente...**

Medizinische Geräte und chirurgische Interventionen unterliegen jedoch weniger strengen Regulierungen und scheinen daher besonders für Evaluierungen im Rahmen von Bedingter Erstattung geeignet zu sein [11]. Insbesondere Operationstechniken haben oft keinen Sponsor, was bedeutet, dass durch Abwesenheit von marktwirtschaftlichen Interessen nur in den seltensten Fällen Studien über Wirksamkeit und Sicherheit vorliegen. Vor allem bei schwerwiegenden Erkrankungen, für die wenige Therapieoptionen bestehen, ist dann damit zu rechnen, dass diese auch ohne ausreichende Evidenz in den klinischen Alltag diffundieren [6, 8, 35].

**auch für medizinische
Geräte, chirurgische
Interventionen**

5.2 Studienendpunkte

Viele Studien erfassen als Endpunkte oft nur kurzfristige oder Surrogat-Outcomes. Bedingte Erstattung soll nun den Vorteil bieten, dass speziell auf EntscheidungsträgerInnen abgestimmte Fragestellungen beantwortet werden können [11]. Diese bestehen meist in Bezug auf Langzeitwirkung, vergleichende Effektivität mit der herrschenden Standardtherapie, sowie Wirksamkeit einer Technologie im klinischen Alltag und nicht unter idealen Bedingungen [6, 17]. Sollten Studien bereits am Laufen sein, so müsste gewährleistet werden, dass die erhobenen Daten auch tatsächlich Unsicherheiten im Entscheidungsprozess reduzieren können [11]. Wenn Studien im Auftrag von Versicherungsträgern selbst durchgeführt werden, könnten Daten zu Langzeit Follow-up durch Koppelung an Versicherungsansprüche und Krankenakten einfach erhoben werden [35].

**Studienendpunkte auf
Fragen von
Entscheidungsträger-
Innen abgestimmt**

**fraglich ob
Kosteneffektivität als
zwingender Endpunkt**

Ob Kosteneffektivität im Rahmen von weiteren Studien erhoben werden soll, wird weiterhin diskutiert [11, 17]. Sollte ein wirksames Produkt aber auf Basis der Kosteneffektivität letzten Endes abgelehnt werden, ist in jedem Fall mit massiver Opposition von PatientInnen, Medien und Industrie zu rechnen [8, 35].

5.3 Konsequenzen für PatientInnen

**PatientInnen tragen
Risiken sind aber auch
Profiteure von Studien**

Obwohl PatientInnen diejenigen sind, die letztendlich von neuen Technologien profitieren, so tragen sie jedoch auch das mit Studien verbundene Risiko. Manche AutorInnen argumentieren zwar, dass für PatientInnen, die an RCTs teilnehmen, aufgrund von hoch standardisierten Protokollen, ideale Behandlungskonditionen bestehen [10]. Nichtsdestotrotz wären aber bei ineffektiven Technologien auch folgende Konsequenzen denkbar: das optimale Behandlungsschema wird verzögert eingesetzt; weitere medizinische Eingriffe sind notwendig, der Einsatz der Technologie resultiert in erhöhter Morbidität [6, 11].

ethische Probleme

Abhängig von den Bedingungen unter denen Evidenz generiert werden soll, ergeben sich auch ethische Probleme. RCTs gelten als an der Spitze der Evidenzhierarchie stehende Studiendesigns [1]. Wird nun aber ein Produkt nur in ausgewählten Zentren und klar definierten Patientengruppen zugänglich gemacht, so besteht die Gefahr, dass PatientInnen, die von einer Technologie profitieren hätten können, bedingt durch geographische Faktoren oder anderer Charakteristika keine Aufnahme in die Studie finden [6, 31, 35].

5.4 Konsequenzen für Industrie

**sowohl
Preissteigerungen, als
auch Preisreduktionen
sind möglich**

Vorteile für Hersteller von Technologien ergeben sich insofern, als dass Produkte, die bei bestehenden Unsicherheiten bezüglich ihrer klinischen Wirksamkeit normalerweise nicht in den Leistungskatalog aufgenommen worden wären, zumindest vorübergehend bezahlt werden könnten. Sollten diese dann wirksamer als ursprünglich gedacht sein, könnten Unternehmen dies nutzen, um höhere Preise für ihre Produkte zu verlangen [11]. Zusätzlich könnte der Anreiz wegfallen, experimentelle Produkte oder Geräte kostenlos zur Verfügung zu stellen, wenn diese ohnehin durch Bedingte Erstattung abgedeckt werden [64]. Fraglich ist auch, ob Produzenten nicht abgehalten werden, selbst in Forschung zu investieren, vor allem dann, wenn sie ohnehin damit rechnen, dass weitere Studien für Kostenübernahme erforderlich sind [11].

**verminderter Anreiz in
Studien zu investieren?**

Andererseits könnten aber auch höhere Kosten für Unternehmen entstehen, wenn sie es sind, die die Finanzierung weiterer Studien übernehmen müssen [8, 11]. Auch könnten sie dem Risiko ausgesetzt sein, Preisrestriktionen in Kauf nehmen zu müssen, sollte sich ein Produkt als weniger wirksam herausstellen, oder nur ein verbilligtes Produkt für Leistungsträger kosteneffizient sein [11, 65].

5.5 Studienart

Wie bereits in Abschnitt 5.3 erwähnt, stellen sich auch ethische Fragen. Damit verbunden ist die Wahl der Studienart: Soll lediglich einem ausgewählten Patientengut der Zugang im Rahmen von RCTs gestattet werden, oder kann auch eine breitere Anwendung, wie Register oder Kohortenstudien, die nötige Evidenz liefern, um Unsicherheiten zu minimieren [10, 64]?

RCTs sind an der Spitze der Evidenzhierarchie und sind somit verlässlichste Quelle für Wirksamkeit einer Technologie. Nachteile sind, dass Planung und Durchführung zeitaufwändig und teuer sind, durch strenge Ein- und Ausschlusskriterien die Ergebnisse zwar hohe interne Validität garantieren, die Generalisierbarkeit auf die allgemeine Bevölkerung aber oft limitiert ist und durch strikte Protokolle, die Aussagekraft in Bezug auf Wirkung unter Realbedingungen reduziert sein kann [66].

Sollte die Evidenzgenerierung an Datenübermittlung zu Registern gebunden werden, so ist deren Aussagekraft zwar geringer [17], aber durch breite Anwendung in einer großen Population könnten bei minimalem organisatorischem Aufwand Rückschlüsse auf Auswirkungen für Patientenuntergruppen gezogen werden [13, 31].

Bevor ein Studiendesign beschlossen wird, muss auch der Zeitraum berücksichtigt werden, ab dem schließlich Ergebnisse erwartet werden können [6]. Manche Studien – allen voran RCTs - benötigen lange Vorlaufzeiten und würden die Verfügbarkeit einer erfolversprechenden Therapie erheblich verzögern. Im Gegensatz dazu könnte, wenn Erstattung an Übermittlung von Daten an, zum Beispiel, Register gebunden wird, die Technologie relativ rasch zugänglich gemacht werden [17].

Ein immer wieder auftauchender Begriff ist „Pragmatische klinische Studien“. Der Vorteil dieser Studienart besteht darin, dass die Wirksamkeit eines medizinischen Verfahrens unter Realbedingungen und nicht, wie bei RCTs, unter idealisierten Umständen geprüft wird und durch Einschluss von größeren Patientengruppen bessere Aussagen über Effektivität unter Realbedingungen zulässt [17, 67].

Letztendlich wird die Wahl des geeigneten Studientyps wohl von den vorhandenen finanziellen Mitteln, als auch vom festgelegten Zeitrahmen abhängen [17, 66].

RCTs, Register und PCTs möglich

Vor- und Nachteile verschiedener Studiendesigns

pragmatische klinische Studien für Wirksamkeitsnachweis unter Realbedingungen

5.6 Life cycle

Bedingte Erstattung eignet sich prinzipiell sowohl für neue Technologien als auch für bereits existierende. Da es jedoch schwieriger ist, den Zugang für bereits etablierte Technologien zu begrenzen, könnte die Bedingung nach weiteren Daten eher bei neuen Technologien angewandt werden [8]. Probleme könnten dabei aber insofern entstehen, als dass, gegeben durch den noch dürftig vorhandenen Wirksamkeitsnachweis, bedeutend längere Zeiträume veranschlagt und entscheidend mehr finanzielle Mittel für hoch-

Bedingte Erstattung nicht nur für neue Technologien geeignet

wertige Datengenerierung bereitgestellt werden müssten [17]. Zusätzlich müssten diese Technologien auch rechtzeitig identifiziert werden, um zu gewährleisten, dass Bedingte Erstattung eine akzeptable Option bleibt [34].

Bereits existierende Technologien könnten sich vor allem dann eignen, wenn diese, entweder ohne ausreichende Evidenz in den klinischen Alltag aufgenommen worden waren und sich nun vermehrt Zweifel bezüglich deren tatsächlicher Wirksamkeit stellen, oder, wenn Technologien zu wenig benützt werden, da es keinen wirtschaftlichen Anreiz gibt, für diese Studien durchzuführen [17].

Hersteller von medizinischen Geräten argumentieren ferner, dass ihre Produkte generell einen zu kurzen Lebenszyklus hätten, um hochwertige Studien durchzuführen, da diese ständigen Erneuerungen und Verbesserungen unterliegen. Dadurch und durch die Vorlaufzeit, die benötigt wird, bis die Anwendung im klinischen Alltag routinemäßig funktioniert, würde Kosteneffektivität, wenn zu früh erhoben, unterschätzt werden [8, 11].

5.7 Zeitraum

Dauer hat Einfluss auf Opportunitätskosten

Der Zeitraum, in dem Daten im Rahmen von Bedingter Erstattung gesammelt werden sollen, spielt eine gewichtige Rolle. Die Dauer, für die die Kosten übernommen werden und das Datum, an dem etwaige Änderungen der Kostenerstattungspolitik veranlasst werden, sollten im Voraus festgelegt werden. Andernfalls könnte Bedingte Erstattung, vor allem bei Abwesenheit von Mechanismen zur Umsetzung von Forschungsprojekten, nur einer „höflichen Art Nein zu sagen“ gleichkommen [49].

Sollte sich eine Technologie letztlich als wirksam erweisen, sind mit zunehmender Studiendauer und vor allem bei limitiertem Zugang zu der Technologie auch erhöhte Opportunitätskosten im Sinne von entgangenem Gesundheitsgewinn möglich [10, 11]. Manche AutorInnen plädieren daher für einen maximalen Zeitraum von drei Jahren. Sollte es länger dauern, die erforderlichen Daten zu sammeln, könnte die fragliche Technologie außerdem durch Neuerungen in der klinischen Praxis bereits wieder obsolet geworden sein [11].

keine Einigung über maximalen Zeitraum

Im Gegensatz dazu, sind andere AutorInnen der Meinung, dass durchaus auch länger dauernde Studien Anwendung finden können [17]. Dann sollte aber gelten, dass Zugang zu Technologien nicht limitiert ist und Informationen zum Beispiel mittels Register gesammelt werden [17].

5.8 Kosten

eine der wichtigsten Fragen: Finanzierung

Eine der wichtigsten mit Bedingter Erstattung assoziierte Frage ist die nach den zusätzlich entstehenden Kosten, als auch von wem diese zu tragen sind. Sollten Entscheidungsträger die Verfügbarkeit einer Technologie mit der Forderung nach weiteren Studien verknüpfen, aber keine Ressourcen für die

Finanzierung vorhanden sein, so käme Bedingte Erstattung einer Ablehnung gleich [49].

Einigkeit besteht, dass Produzenten so weit wie möglich an der Finanzierung beteiligt werden sollten [11, 17]. Dies ist jedoch meist nur für Pharmazeutika oder medizinisch-diagnostische Geräte möglich, da zum Beispiel bei chirurgischen Interventionen oft keine dahinterstehende Firma Interesse hätte, die Kosten zu übernehmen. In diesen Fällen müsste dann die öffentliche Hand die Finanzierung übernehmen [11], wobei idealerweise bereits Mittel dafür bereitgestellt sein sollten, um Studien rasch umsetzen zu können [17].

Durch die zusätzlich entstehenden Kosten bedingt und die damit verbundenen Implikationen für die zeitgerechte Verfügbarkeit von relevanten Daten, sollte Bedingte Erstattung nicht inflationär gebraucht werden, sondern Kosten und Nutzen von weiteren Daten sorgfältig gegeneinander abgewogen werden [11]. Als mögliche Entscheidungshilfe beschreibt Chalkidou dabei die sogenannte „VOI-Analyse“ („value-of-information“), die vier Parameter gegeneinander abwägt:

- (1) Das Ausmaß der mit der Entscheidung verbundenen Unsicherheit.
- (2) Die Auswirkungen von falschen Entscheidungen, wobei auch potentielle Gesundheitsgewinne der fraglichen Technologie im Vergleich zur Standardtherapie berücksichtigt werden sollen.
- (3) Inwiefern weitere Daten zur Reduktion der Unsicherheit beitragen können
- (4) Die Kosten, um weitere Daten zu erheben.

Nur wenn der zu erwartende Nutzen von zusätzlichen Informationen deren Kosten übersteigt, sollten weitere wissenschaftliche Untersuchungen finanziert werden [10].

**VOI-Analyse als
Entscheidungshilfe**

**nur wenn Nutzen
größer als Kosten**

6 Schlussfolgerungen

Bedingte Erstattung bietet bei Entscheidungen über Kostenerstattung von Technologien die Möglichkeit Unsicherheiten bezüglich Wirksamkeit, Sicherheit und Kosteneffektivität zu reduzieren, indem die Kostenübernahme an die Generierung von zusätzlichen Daten gebunden wird. Dadurch, dass Interventionen, Therapien oder medizinische Geräte PatientInnen zugänglich gemacht werden, ohne aber eine unkontrollierte Diffusion zu erlauben, soll dieser Ansatz eine optimale Ressourcenallokation gewährleisten.

Obwohl in den beschriebenen Ländern einige Unterschiede in der Anwendung von Bedingter Erstattung bestehen, so gibt es doch auch Parallelen: Generell gilt, dass Bedingte Erstattung nur eingesetzt wird, wenn die vorhandene Evidenz zumindest suggeriert, dass die fragliche Technologie wirksam und sicher ist. Entscheidungen, die mit der Bedingung nach weiteren Daten verknüpft sind, betreffen hauptsächlich neue Geräte oder Interventionen, wobei Bezahlung derselben nur erfolgt, wenn Studien von den Leistungsträgern anerkannt sind. Nicht nur RCTs finden Anwendung, sondern auch Sammlung von Informationen in Registern können adäquate Daten liefern. Kosten für Studien werden prinzipiell nicht von den Leistungsträgern selbst übernommen, sondern werden nur in Ausnahmefällen, wie zum Beispiel bei Fehlen eines um Kostenerstattung ansuchenden Produzenten, bezahlt.

Gemeinsam haben sie aber auch, dass ungeklärte Fragen die erfolgreiche Anwendung von Bedingter Erstattung gefährden. Um eine inflationäre Anwendung von Bedingter Erstattung zu vermeiden – hohe Opportunitätskosten durch restriktiven Zugang zu wirksamen Technologien könnten die Folge sein – gilt es relevante Technologien zu identifizieren, als auch den besten Zeitpunkt für den Einsatz von Bedingter Erstattung festzusetzen. Obwohl prinzipiell auch bereits in Gebrauch befindliche Technologien für Bedingte Erstattung geeignet sind, ist es schwieriger, den ehemals unbeschränkten Zugang, im Nachhinein zu limitieren. Da mit zusätzlichen Daten auch erhöhte Kosten in Kauf zu nehmen sind, ist wahrscheinlich, dass sich teure Therapien oder Interventionen besser eignen. Des Weiteren könnten vor allem bei schweren Erkrankungen, für die keine, oder nur wenige Alternativen existieren, Unsicherheiten beträchtlich reduziert werden.

Die Wahl des Studiendesigns hat nicht nur ethische und finanzielle Konsequenzen, sondern bestimmt auch wesentlich den Zeitrahmen, ab dem mit ersten Ergebnissen gerechnet werden kann. Wenn bereits Studien laufen, die zusätzlich Aufschluss über Wirksamkeit oder Sicherheit einer Technologie liefern können, ist mit einer deutlich kürzeren Vorlaufzeit zu rechnen, als wenn erst Finanzierung gesichert und Protokolle für geeignete Studien entwickelt werden müssen. Register stellen zwar eine schnelle Art der Datensammlung dar, sind jedoch oft nicht geeignet, um relevante Fragestellungen zu beantworten. Pragmatische klinische Studien bieten zwar die Möglichkeit eine Technologie breit zugänglich zu machen, sind dafür aber auch mit wesentlich höheren Kosten verbunden.

Zugang zu Technologien wird ermöglicht ohne unkontrollierte Diffusion zu erlauben

Parallelen in der Anwendung

ungeklärte Fragen gefährden Anwendung von Bedingter Erstattung

hauptsächlich für neue und teure Technologien und bei schweren Erkrankungen

Auch die Rolle von und die Konsequenzen für Hersteller medizinischer Produkte wird zwangsläufig zu berücksichtigen sein. Da sie in jedem Fall zur Finanzierung weiterer Studien beitragen sollen, müssen aber auch entsprechende Anreize dafür geschaffen werden, um zu gewährleisten, dass offene Fragestellungen auch im Rahmen von kostspieligen RCTs beantwortet werden können.

Finanzierung als wichtigster Faktor	Insgesamt dürften also Fragen rund um die Finanzierung als wichtigster Faktor angesehen werden, denn sollte eine Technologie nur im Rahmen von Studien zugänglich sein, es aber keine Mittel gäbe, diese auch umzusetzen, käme dies einer Ablehnung gleich. Obwohl nicht alle anfallenden Kosten von Leistungsträgern erbracht werden können, so ist doch zu erwähnen, dass auch die Kosten zu berücksichtigen sind, die, bedingt durch falsche Entscheidungen, entstehen könnten. Eine möglicherweise wirksame Therapie, die aufgrund von Unsicherheiten nicht angeboten wird, bedeutet nicht nur Verlust an Lebensjahren oder Lebensqualität, sondern erhöht möglicherweise auch Folgekosten, die ohne adäquate Therapie entstehen würden. Dasselbe gilt auch für den umgekehrten Fall von unwirksamen Therapien.
Wichtige Punkte für die erfolgreiche Anwendung von Bedingter Erstattung	Trotz der zahlreichen offenen Fragen, dürften dennoch einige, gemeinsame Faktoren die erfolgreiche Anwendung von Bedingter Erstattung bedingen:
Einbindung aller Beteiligten,	<ul style="list-style-type: none"> ✦ Um die nötige Akzeptanz für Entscheidungen dieser Art zu treffen, müssen alle Beteiligte, allen voran PatientInnen, Industrie und EntscheidungsträgerInnen miteinbezogen werden.
transparente Prozesse,	<ul style="list-style-type: none"> ✦ Klar definierte und transparente Prozesse sollen die Identifizierung geeigneter und relevanter Technologien ermöglichen.
gesicherte Finanzierung,	<ul style="list-style-type: none"> ✦ Die Finanzierung von Evidenz-Generierung muss gewährleistet sein.
adäquate Studiendesigns,	<ul style="list-style-type: none"> ✦ Studiendesigns müssen Bedürfnisse von EntscheidungsträgerInnen berücksichtigen, um tatsächlich zur Reduzierung von Unsicherheiten beitragen zu können.
festgelegte Zeiträume	<ul style="list-style-type: none"> ✦ Zeiträume, sowohl für das Vorliegen von Resultaten als auch für Re-evaluierung der getroffenen Entscheidung sollten definiert sein [34].

Obwohl es abzuwarten gilt, wie einzelne Länder diese Herausforderungen meistern werden, stellt diese Möglichkeit zweifellos eine wertvolle Bereicherung im Entscheidungsprozess über Kostenerstattung dar.

7 Referenzen

1. Garrison, L.P., Jr., et al., *Using real-world data for coverage and payment decisions: the ISPOR Real-World Data Task Force report*. Value Health, 2007. **10**(5): p. 326-35.
2. Ofman, J.J. and D.P. Lubeck, *Realizing the benefits of practical clinical trials*. Jama, 2004. **291**(4): p. 425-6; author reply 426.
3. Tunis, S.R., *A clinical research strategy to support shared decision making*. Health Aff (Millwood), 2005. **24**(1): p. 180-4.
4. Eisenberg, J.M., *Ten lessons for evidence-based technology assessment*. Jama, 1999. **282**(19): p. 1865-9.
5. Austin, D., *Health Research funded by health care commissioners: A public health and commissioning perspective*, in HTAi 2008: Montreal.
6. Carino, T., S. Sheingold, and S. Tunis, *Using clinical trials as a condition of coverage: lessons from the National Emphysema Treatment Trial*. Clin Trials, 2004. **1**(1): p. 108-14; discussion 115-21.
7. Fayers, P. and D. Machin, *Quality of life: Assessment, analysis and interpretation*. 2000, Chichester: Wiley. p. 3-27.
8. Sheingold, S.H., *Technology assessment, coverage decisions, and conflict: the role of guidelines*. Am J Manag Care, 1998. **4 Spec No**: p. SP117-25.
9. Claxton, K., M. Sculpher, and M. Drummond, *A rational framework for decision making by the National Institute For Clinical Excellence (NICE)*. Lancet, 2002. **360**(9334): p. 711-5.
10. Chalkidou, K., et al., *Evidence-based decision making: when should we wait for more information?* Health Aff (Millwood), 2008. **27**(6): p. 1642-53.
11. Hutton, J., P. Trueman, and C. Henshall, *Coverage with evidence development: an examination of conceptual and policy issues*. Int J Technol Assess Health Care, 2007. **23**(4): p. 425-32.
12. Lindsay, M.J., et al., *The National Oncologic PET Registry: expanded medicare coverage for PET under coverage with evidence development*. AJR Am J Roentgenol, 2007. **188**(4): p. 1109-13.
13. Straube, B.M., *How changes in the Medicare coverage process have facilitated the spread of new technologies*. Health Aff (Millwood), 2005. **Suppl Web Exclusives**: p. W5-314-W5-316.
14. Medical Services Advisory Committee. *Strengthening evidence-based health care in Australia*. 2008 [cited 2008 27.October 2008]; Available from: <http://www.msac.gov.au/>.
15. Medical Research Council. *MRC-NIHR Methodology research programme: needs-led research*. 2008 [cited 2008 26.October 2008]; Available from: http://www.mrc.ac.uk/consumption/idcplg?IdcService=GET_FILE&dID=15188&dDocName=MRC004829&allowInterrupt=1.
16. Health Technology Assessment International. *Collection of feedback: What is the best term to use for "coverage with evidence development and how should that term be defined 2008* [cited 2008 27.10.]; Available from: <http://www.htai.org/index.php?id=242>.
17. Tunis, S.R. and K. Chalkidou, *Coverage with evidence development: a very good beginning, but much to be done. Commentary to Hutton et al*. Int J Technol Assess Health Care, 2007. **23**(4): p. 432-5.
18. Potetz, L. *Financing Medicare: an issue Brief*. 2008 [cited 2008 29.11.]; Available from: <http://www.kff.org/medicare/upload/7731.pdf>.

19. The Henry J. Kaiser Family Foundation, *Medicare Spending and Financing*. 2008: Washington.
20. The Henry J. Kaiser Family Foundation. *statehealthfacts.org*. [cited 2008 20.11.]; Available from: <http://statehealthfacts.kff.org/>.
21. Goodman, C.S., *Healthcare technology assessment: methods, framework, and role in policy making*. Am J Manag Care, 1998. **4 Spec No**: p. SP200-14; quiz SP215-6.
22. Centers for Medicare and Medicaid Services. *Factors CMS Considers in Opening a National Coverage Determination*. 2006 [cited 2008 29.10.2008]; Available from: https://www.cms.hhs.gov/mcd/ncpc_view_document.asp?id=6.
23. American Health Quality Association. *The American Health Quality Association*. 2003 [cited 2008 3.12.2008]; Available from: http://www.ahqa.org/pub/inside/158_716_2487.CFM?CFID=21903232&CFTOKEN=52474104.
24. Centers for Medicare and Medicaid Services. *National Coverage Determinations with Data Collection as a Condition for Coverage: Coverage with Evidence Development*. 2006 [cited 2008 14.11.2008]; Available from: http://www.cms.hhs.gov/mcd/ncpc_view_document.asp?id=8.
25. Neumann, P.J., M.S. Kamae, and J.A. Palmer, *Medicare's national coverage decisions for technologies, 1999-2007*. Health Aff (Millwood), 2008. **27**(6): p. 1620-31.
26. Foote, S.B. and R.J. Town, *Implementing evidence-based medicine through medicare coverage decisions*. Health Aff (Millwood), 2007. **26**(6): p. 1634-42.
27. Centers for Medicare and Medicaid. *National Coverage Determinations with Data Collection as a Condition for Coverage: Coverage with Evidence Development*. 2006 [cited 2008 14.11.]; Available from: http://www.cms.hhs.gov/mcd/ncpc_view_document.asp?id=8.
28. Centers for Medicare and Medicaid Services. *NCD for Routine Costs in Clinical Trials*. 2007 [cited 2008 05.12.2008]; Available from: http://www.cms.hhs.gov/mcd/viewncd.asp?ncd_id=310.1&ncd_version=2&basket=ncd%3A310.1%3A2%3ARoutine+Costs+in+Clinical+Trials.
29. Centers for Medicare and Medicaid Services. *Medicare Evidentiary Priorities*. 2008 [cited 2008 12.12.2008]; Available from: http://www.cms.hhs.gov/CoverageGenInfo/07_EvidentiaryPriorities.asp#TopOfPage.
30. Centers for Medicare and Medicaid Services. *Fact sheet: CMS responds to stakeholder feedback regarding coverage with evidence development*. 2005 [cited 2008 13.11.2008]; Available from: www.cms.hhs.gov/coverage/download/guidfactsheet.pdf.
31. Pearson, S.D., F.G. Miller, and E.J. Emanuel, *Medicare's requirement for research participation as a condition of coverage: is it ethical?* Jama, 2006. **296**(8): p. 988-91.
32. Centers for Medicare and Medicaid Services. *Medicare Coverage Databases - Reports*. 2008 [cited 2008 05.12.2008]; Available from: <http://www.cms.hhs.gov/mcd/reports.asp?clickon=report>.
33. Center for Health Policy - Freeman Spogli Institute for International Studies. *People of CHP/PCOR*. 2009 [cited 2009 05.01.]; Available from: <http://healthpolicy.stanford.edu/people/seanstunis/>.

34. National Institute for Health and Clinical Excellence. *Managing uncertainty in healthcare - Report of a meeting organised by NICE and AHRQ*. 2008 [cited 2008 16.12. 2008]; Available from: http://www.nice.org.uk/aboutnice/howwework/researchanddevelopment/research_and_development.jsp?domedia=1&mid=A1ADF1EB-19B9-E0B5-D4ACC51AC0BBDBC9.
35. Ramsey, S.D. and S.D. Sullivan, *Evidence, economics, and emphysema: Medicare's long journey with lung volume reduction surgery*. Health Aff (Millwood), 2005. **24**(1): p. 55-66.
36. Tunis, S.R. and S.D. Pearson, *Coverage options for promising technologies: Medicare's 'coverage with evidence development'*. Health Aff (Millwood), 2006. **25**(5): p. 1218-30.
37. National Health System. *About the NHS*. 2008 [cited 2008 18.11.]; Available from: <http://www.nhs.uk/aboutnhs/Pages/About.aspx>.
38. National Institute for Health and Clinical Excellence. *About NICE*. 2007 [cited 2008 18.11.2008]; Available from: <http://www.nice.org.uk/aboutnice/>.
39. National Institute for Health and Clinical Excellence. *Faster Access to Modern Treatment: How NICE appraisal Will Work*. 1999 [cited 2008 23.11.]; Available from: http://www.nice.org.uk/aboutnice/whatwedo/niceandthenhs/fasteraccesstomodern-treatment/faster_access_to_modern_treatment.jsp.
40. Cooksey, D., *A review of UK health research funding*. 2006, HM Treasury: Norwich.
41. National Institute for Health Research. *The Office for Strategic Coordination of Health Research (OSCHR) Background on the Review of Health Research in the UK and OSCHR*. 2006 [cited 2008 24.11.2008]; Available from: http://www.nihr.ac.uk/about_oschr.aspx.
42. National Institute for Health and Clinical Excellence. *About research and development*. 2007 [cited 2008 01.11.]; Available from: http://www.nice.org.uk/niceMedia/pdf/about_r&d.pdf.
43. Williams, I., S. Bryan, and S. McIver, *How should cost-effectiveness analysis be used in health technology coverage decisions? Evidence from the National Institute for Health and Clinical Excellence approach*. J Health Serv Res Policy, 2007. **12**(2): p. 73-9.
44. National Institute for Health and Clinical Excellence. *NICE Citizens Council "Only in research"*. 2007 [cited 2008 12.11.]; Available from: <http://www.nice.org.uk/media/129/29/OIRReport300407.pdf>.
45. National Institute for Health and Clinical Excellence. *Managing uncertainty in healthcare - Report of a meeting organised by NICE and AHRQ*. 2008 [cited 2008 10.11.]; Available from: <http://www.nice.org.uk/media/A1A/E6/NICEAHRQWorkshopReportFINAL.pdf>.
46. National Institute for Health and Clinical Excellence. *Faster Access to Modern Treatment: How NICE appraisal Will Work*. 1999 [cited 2008 23.11.2008]; Available from: http://www.nice.org.uk/aboutnice/whatwedo/niceandthenhs/fasteraccesstomodern-treatment/faster_access_to_modern_treatment.jsp.
47. National Institute for Health and Clinical Excellence. *About public health guidance*. 2007 [cited 2008 14.11.2008]; Available from: http://www.nice.org.uk/aboutnice/whatwedo/aboutpublichealthguidance/about_public_health_guidance.jsp.
48. Heppell, K., *Only-in-research*, A. Nachtnebel, Editor. 2008, NICE.

49. Chalkidou, K., A. Hoy, and P. Littlejohns, *Making a decision to wait for more evidence: when the National Institute for Health and Clinical Excellence recommends a technology only in the context of research.* J R Soc Med, 2007. **100**(10): p. 453-60.
50. National Institute for Health and Clinical Excellence. *Guide to the Technology Appraisal Process.* 2004 [cited 2008 24.11.]; Available from: <http://www.nice.org.uk/niceMedia/pdf/TAP.pdf>.
51. Medical Research Council. *MRC-NIHR Methodology research programme: needs-led research.* 2008 [cited 2008 26.10.]; Available from: http://www.mrc.ac.uk/consumption/idcplg?IdcService=GET_FILE&dID=15188&dDocName=MRC004829&allowInterrupt=1.
52. National Institute for Health and Clinical Excellence, *Colorectal cancer - laparoscopic surgery (review).* 2006, NICE.
53. Australian Government. *Welcome to Medicare Australia.* 2008 [cited 2008 25.11.]; Available from: <http://www.medicareaustralia.gov.au/>.
54. World Health Organization. *Countries.* 2008 [cited 2008 26.11.]; Available from: <http://www.who.int/countries/en/>.
55. Therapeutic Goods Administration. *Regulation of therapeutic goods in Australia.* 2005 [cited 2008 25.11.2008]; Available from: <http://www.tga.gov.au/index.htm>.
56. Department of Health and Ageing. *PBS Committees.* 2004 [cited 2008 05.11.2008]; Available from: <http://www.health.gov.au/internet/main/publishing.nsf/Content/health-pbs-general-committ.htm#pbpa>.
57. Medical Services Advisory Committee. *Publications from Medical Services Advisory Committee.* 2008 [cited 2008 13.11.2008]; Available from: <http://www.msac.gov.au/internet/msac/publishing.nsf/Content/publications-lp-1>.
58. O'Malley, S.P., *The Australian experiment: the use of evidence based medicine for the reimbursement of surgical and diagnostic procedures (1998-2004).* Aust New Zealand Health Policy, 2006. **3**: p. 3.
59. Medical Services Advisory Committee. *Funding for new medical technologies and procedures: application and assessment guidelines.* 2008 [cited 2008 27.10.]; Available from: [http://www.msac.gov.au/internet/msac/publishing.nsf/Content/C1F4569D79E542FACA257161001F1389/\\$File/guidelines.pdf](http://www.msac.gov.au/internet/msac/publishing.nsf/Content/C1F4569D79E542FACA257161001F1389/$File/guidelines.pdf).
60. Medical Services Advisory Committee. *Funding for new medical technologies and procedures: application and assessment guidelines.* 2008 [cited 2008 27.October 2008]; Available from: [http://www.msac.gov.au/internet/msac/publishing.nsf/Content/C1F4569D79E542FACA257161001F1389/\\$File/guidelines.pdf](http://www.msac.gov.au/internet/msac/publishing.nsf/Content/C1F4569D79E542FACA257161001F1389/$File/guidelines.pdf).
61. Medical Services Advisory Committee, *M2A@ Capsule Endoscopy For the evaluation of obscure gastrointestinal bleeding in adult patients,* MSAC, Editor. 2003: Canberra.
62. Given Imaging. *Given Imaging Receives Permanent Medicare Funding for PillCam@ SB in Australia.* 2008 [cited 2008 2.12.]; Available from: <http://www.marketwire.com/press-release/Given-Imaging-NASDAQ-GIVN-856754.html>.
63. Franklin, G.M., et al., *Policy-relevant research: when does it matter?* NeuroRx, 2004. **1**(3): p. 356-62.
64. Carino, T., et al., *Medicare's coverage of colorectal cancer drugs: a case study in evidence development and policy.* Health Aff (Millwood), 2006. **25**(5): p. 1231-9.

Referenzen

65. Walley, T., *Neuropsychotherapeutics in the UK: what has been the impact of NICE on prescribing?* CNS Drugs, 2004. **18**(1): p. 1-12.
66. Redberg, R.F., *Evidence, appropriateness, and technology assessment in cardiology: a case study of computed tomography.* Health Aff (Millwood), 2007. **26**(1): p. 86-95.
67. Tunis, S.R., D.B. Stryer, and C.M. Clancy, *Practical clinical trials: increasing the value of clinical research for decision making in clinical and health policy.* Jama, 2003. **290**(12): p. 1624-32.