



Schriftenreihe

INTERDISZIPLINÄRE PLATTFORM ZUR NUTZENBEWERTUNG

Ausgabe 13
September 2021
ISBN 2364-916X

Patienten und Fachgesellschaften: Zusätzliche Expertise fürs AMNOG

HEFTE DER INTERDISZIPLINÄREN PLATTFORM ZUR NUTZENBEWERTUNG

HEFT 1

Vier Jahre AMNOG – Diskurs und Impulse

HEFT 2

Klinische Studien – welche Endpunkte zählen?

HEFT 3

Adaptive Pathways – Chancen und Risiken

HEFT 4

AMNOG 2.0 – Informationsprobleme

HEFT 5

Lücken in der Evidenz – was leisten Registerdaten?

HEFT 6

Arztinformation via Software: Wege und Ziele

HEFT 7

Arztinformation via Software – Orientierung oder Steuerung?

HEFT 8

Europäische Nutzenbewertung – Chancen und Risiken

HEFT 9

Kontextuelle Evidenz – Wege zur gezielten Therapie

HEFT 10

Welchen (Zusatz-) Nutzen haben Registerdaten?

HEFT 11

Europäisches HTA-Verfahren: Fortschritte und Fallstricke

HEFT 12

Digitale Gesundheitsdaten: Nutzen, Kosten, Governance

HEFT 13

Patienten und Fachgesellschaften: Zusätzliche Expertise fürs AMNOG

ALLE HEFTE SIND ABRUFBAR UNTER:

[HTTPS://WWW.AERZTEZEITUNG.DE/KOOPERATIONEN/PLATTFORM-ZUR-NUTZENBEWERTUNG](https://www.aerztezeitung.de/koooperationen/plattform-zur-nutzenbewertung)

Inhalt

EDITORIAL

Ärztliche Erfahrung und die Perspektive der Patienten – „Kopf und Herz“ fürs AMNOG 6

KORDULA SCHULZ-ASCHE

Die Rolle der Patientinnen und Patienten im AMNOG-Verfahren aus Sicht der Grünen 8

CHRISTIAN DIERKS UND ANTANAS GRIMALAUSKAS

Optionen der Partizipation von Patienten – eine Sicht auf das rechtliche Rahmenwerk 10

MARTIN DANNER

Patienten in der Nutzenbewertung – ein Erfahrungsbericht 14

JAN GEISLER UND STEFAN HUBER

Gesundheitskompetenz und Patientenpartizipation in Deutschland und der EU 18

BERNHARD WÖRMANN

Fachgesellschaften im AMNOG-Verfahren – ein „nicht-quantifizierbarer Zusatznutzen“? 26

MARTIN SCHERER UND ERIKA BAUM

Allgemeinmedizin und das AMNOG: Eine Standortbestimmung 36

PETER FALKAI, DOROTHÉE STREB UND CORNELIUS SCHÜLE

Erfahrungen der Psychiatrie/Neurologie mit der frühen Nutzenbewertung 44

THOMAS SEUFFERLEIN UND JOHANNES BRUNS

Partizipation der Fachgesellschaften im AMNOG-Verfahren am Beispiel Onkologie 54

ANDREW JOHN ULLMANN

Die Rolle der Fachgesellschaften im AMNOG aus Sicht der Politik 62

JÜRGEN BAUSCH

Patientenvertreter im G-BA: Gibt es tatsächlich Reformbedarf? 64

FLORIAN STAECK

Patientenvertreter und Fachgesellschaften: Unverzichtbare Ressourcen im AMNOG 68

Ziele der Plattform

Seit der Einführung des AMNOG im Jahr 2011 verfügt Deutschland über ein inzwischen etabliertes und weitgehend anerkanntes ‚lernendes System‘ zur Bewertung des patientenrelevanten Zusatznutzens (Health Technology Assessment, HTA). Die Bewertung des Zusatznutzens durch den Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA) ist das Ergebnis einer Expertenarbeit auf der Basis eines Gesetzes (AMNOG) und von Verfahrens- und Methodenvorschriften (z. B. IQWiG-Methoden).

Die handelnden Akteure auf Seiten des G-BA und der Krankenkassen sind als Wissenschaftler, als Klinik- und Vertragsärzte, als Medizinischer Dienst der Krankenkassen (MDK) und Mitarbeiter der Kassenverwaltungen, aber auch als Patientenvertreter qualifiziert, jedoch interessengeleitet. Ebenso qualifiziert und interessengeleitet werden von den pharmazeutischen Unternehmen Nutzendossiers beim G-BA eingereicht, die als Grundlage für die Bewertung des Zusatznutzens dienen.

Da von der Bewertung des Zusatznutzens die Arzneimittelversorgung der Bevölkerung maßgeblich beeinflusst wird, macht es Sinn, den Prozess aufmerksam und kritisch zu begleiten, um mögliche Verwerfungen aufzuzeigen und Dysbalancen entgegenzuwirken. Die interdisziplinäre Plattform zur Nutzenbewertung hat es sich zur Aufgabe gemacht, im kleinen Expertenkreis das Verfahren der Nutzenbewertung mit den folgenden Zielen zu begleiten:

- Verfahren von Bewertungen des Zusatznutzens auch im Verhältnis zur Zulassung zu diskutieren,
- darauf hinzuwirken, dass internationale Standards der evidenzbasierten Medizin und der Gesundheitsökonomie eingehalten, angewendet und weiterentwickelt werden,
- ob und inwieweit patientenrelevanter Zusatznutzen, insbesondere in den Bereichen Mortalität, Morbidität und Lebensqualität, anerkannt wird und welche methodischen Probleme dabei auftreten,

- mögliche Fehlentwicklungen insbesondere bezüglich der Versorgung der Patienten mit neuen Wirkstoffen zu identifizieren,
- einen konstruktiven Dialog mit allen Akteuren im Verfahren der Nutzenbewertung, z. B. auch bei der Weiterentwicklung der gesetzlichen Rahmenbedingungen zum AMNOG, zu ermöglichen.

Zudem verstärkt sich durch den 2018 von der Europäischen Kommission eingebrachten Verordnungsentwurf die europäische Perspektive beim Health Technology Assessment innovativer Arzneimittel. Die Begleitung des Spannungsfeldes zwischen der etablierten nationalen Bewertung und der angestrebten europäischen HTA-Harmonisierung ist ebenfalls ein zentrales Anliegen der Plattform.

Die interdisziplinäre Plattform möchte einen Beitrag dazu leisten, dass neue Wirkstoffe nachvollziehbar und fair bewertet werden. Der Beirat hält eine interdisziplinäre Diskussion über die Bewertungsergebnisse und die angewandten Methoden der Nutzenbewertung für unerlässlich. Darüber hinaus sieht er in dem Nutzenbewertungsprozess eine gute Möglichkeit, die verordnenden Ärzte früher als bislang üblich, über den zu erwartenden Zusatznutzen für Patienten zu neuen Arzneimitteln zu informieren.

Die Interdisziplinäre Plattform ist aus einem Diskussionsprozess zwischen Klinikern und Experten heraus entstanden. Der gemeinsame Wunsch, den Sachverstand in Form interdisziplinärer Tagungen zu bündeln, wird durch ein offenes Sponsorenkonsortium unterstützt. Diesem gehören AbbVie Deutschland GmbH & Co. KG, DAK Gesundheit, MSD Sharp & Dohme GmbH, Novo Nordisk Pharma GmbH, Roche Pharma AG, Verband Forschender Arzneimittelhersteller e.V. und die Xcenda GmbH an.

Der Beirat der Interdisziplinären Plattform zur Nutzenbewertung

Ärztliche Erfahrung und die Perspektive der Patienten – „Kopf und Herz“ fürs AMNOG

Von Prof. Dr. Jörg Ruof

Seit 2011 prägt das AMNOG-Verfahren den Umgang mit Neueinführungen bzw. Indikationserweiterungen von Arzneimitteln in Deutschland. Auch wenn die Preisfindung zwischen dem pharmazeutischen Unternehmen und dem GKV-Spitzenverband am Ende jedes AMNOG-Verfahrens steht, reicht der Einfluss dieser Verfahren weit über die reine Preisfindung hinaus und beeinflusst sowohl medizinisch-klinisches Denken als auch die Verfügbarkeit innovativer medikamentöser Verfahren für die betroffenen PatientInnen in der Versorgung.

Dabei kommt gerade den Patientenorganisationen und den jeweils involvierten medizinischen Fachgesellschaften im AMNOG-Verfahren die wichtige Rolle zu, im Sinne der ‚Triade der Evidenzbasierten Medizin‘, die häufig zunächst technokratische Beurteilung des Datensatzes durch die Patientenperspektive und die ärztliche Einschätzung und Erfahrung zu ergänzen, um so ‚Kopf und Herz‘ bei diesen Entscheidungen in einen guten Einklang zu bringen.

Grund genug für die Plattform Nutzenbewertung, sich mit der ‚zusätzlichen Expertise‘, die Patientenorganisationen und Fachgesellschaften im Rahmen dieser Verfahren einbringen, zu befassen. Dabei gelang es in bewährter Weise, ein breites Spektrum an ReferentInnen miteinander in den Austausch zu bringen. Die Patientenperspektive wird hierbei in den ersten fünf Beiträgen thematisiert:

- Als Krankenschwester, Kommunikationswissenschaftlerin und Landes- und Bundespolitikerin der Grünen betont Frau Kordula Schulz-Asche die Notwendigkeit, den Interessen von PatientInnen in der Selbstverwaltung mehr Gehör zu schenken – bis hin zum Stimmrecht in Verfahrensfragen oder der Wahl eines unparteiischen Mitglieds im G-BA.
- Auch Professor Dierks und Herr Grimalauskas fordern Anhörungs- und Mitentscheidungsrechte für die Patientenvertreter und machen konkrete Vorschläge, wie durch

eine Umgestaltung des Systems der Patientenvertretung die erforderliche Legitimation erreicht werden könnte.

- In den beiden Beiträgen der Patientenvertreter – Herr Dr. Danner sowie Herr Geissler und Herr Huber – wird eindrucksvoll gezeigt, was die Patientenvertretung sowohl auf nationaler wie auch auf europäischer Ebene, trotz der limitierten Finanzmittel und der begrenzten Infrastruktur, bereits erreicht hat. Die Patientenbeteiligung ist ein fest etablierter Bestandteil der deutschen AMNOG-Bewertung. Auf europäischer Ebene ergibt sich zudem das Ziel, auf Augenhöhe an Forschungsprozessen und frühen Weichenstellungen der klinischen Entwicklung beteiligt zu sein.
- Die Diskussion zum Thema Patientenvertretung war sehr intensiv – und wurde auch im Anschluss an die Tagung weitergeführt. So ergab sich – ein Novum in dieser Publikationsreihe – der Wunsch von Herrn Dr. Bausch, dem ‚Gründungsvater‘ dieser Plattform, in einer Art Rück- und Ausblick einen ergänzenden Beitrag zum Thema: ‚Patientenvertreter im G-BA: Gibt es tatsächlich Reformbedarf‘ zu erstellen. In Rücksprache mit dem Beirat der Plattform wurde diesem Wunsch stattgegeben – und ich möchte Sie ausdrücklich anregen, hier ‚hineinzuschnuppern‘.

Nicht weniger angeregt verlief die Diskussion zur Beteiligung der Fachgesellschaften am zweiten Tag:

- Professor Wörmann gab in seinem Auftaktvortrag zum Thema ‚Fachgesellschaften im AMNOG-Verfahren – ein ‚nicht-quantifizierbarer Zusatznutzen?‘, einen sehr schönen Überblick über die zentrale Rolle der Fachgesellschaften im AMNOG-Verfahren, unter anderem zu der seit 2020 praktizierten Einbindung in die frühe Beratung.
- Die sehr heterogenen Erfahrungen und Perspektiven verschiedener Fachgesellschaften und Fachgebiete werden in den anschließenden Beiträgen der Professoren Scherer & Braun (Deutsche Gesellschaft für Allgemeinmedizin), von Professor Falkai mit seinen Mitarbeitern Frau

Streb und Herr Dr. Schüle (Neurologie & Psychiatrie) und von Herrn Professor Seufferlein und Herrn Dr. Bruns (Deutsche Krebsgesellschaft) exemplarisch beschrieben.

- Der Allgemeinmedizin kommt hierbei durch die Fokussierung auf den gesamten Menschen und die integrative Aufgabenstellung eine Sonderrolle im Vergleich mit den anderen Fachgesellschaften zu. Diese führt zu Einschätzungen und Leitlinienempfehlungen, die wiederholt Differenzen mit den Empfehlungen anderer Fachgesellschaften aufweisen.
- Trotz der Häufigkeit psychischer Erkrankungen und dem hohen Unmet medical need sind innovative medikamentöse Therapieansätze eher selten zu finden. Zudem zeigten sich wiederholt Schwierigkeiten bei der Definition einer zweckmäßigen Vergleichstherapie.
- Die Onkologie ist bei den AMNOG-Verfahren sehr häufig vertreten und bringt sich dementsprechend auch sehr aktiv bei allen entsprechenden Verfahren ein. Positiv ist insbesondere die verbesserte Partizipation bei der Festlegung der zweckmäßigen Vergleichstherapie hervorzuheben. Dagegen ergeben sich z.B. bei der Endpunktbewertung nach wie vor diskrepante Einschätzungen in den AMNOG-Verfahren.
- In seinem abschließenden Referat betont Herr Professor Ullmann aus Sicht der Politik die große Bedeutung der Partizipation von Fachgesellschaften im AMNOG-Verfahren und verweist insbesondere auf das Gesetz für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung (GSAV), welches die Grundlage für eine stärkere Beteiligung der wissenschaftlichen-medizinischen Fachgesellschaften legt.

In diesem Sinne wünsche ich den LeserInnen eine interessante Lektüre und danke den Sponsoren der Tagung herzlich, ohne die diese Diskussion nicht möglich wäre.

Kontakt:

joerg.ruof@r-connect.org

Die Rolle der Patientinnen und Patienten im AMNOG-Verfahren aus Sicht der Grünen

Kordula Schulz-Asche | Mitglied des Deutschen Bundestages

Die immer noch nicht ausgestandene Corona-Pandemie macht seit über einem Jahr deutlich, wie wichtig eine sichere und verlässliche Versorgung mit Arzneimitteln und Impfstoffen ist. Leerstellen, die in dieser Krise sichtbar werden, wie zum Beispiel Lieferengpässe oder der gesicherte Zugang zu Arzneimitteln zu fairen Preisen, sind jedoch schon lange bekannt.

Gesundheitspolitik ist immer ein Wandeln im Spannungsfeld zwischen der Weiterentwicklung guter Gesundheits- und Arzneimittelversorgung und den Interessen zahlreicher Akteure. Das zehnjährige Jubiläum des Arzneimittelmarktneuordnungsgesetzes (AMNOG) ist ein guter Anlass, um bestehende Stellschrauben auf ihre Funktionalität hin zu überprüfen und gegebenenfalls Anpassungen vorzunehmen.

Das AMNOG war damals ein Durchbruch für mehr Nutzenorientierung und leistungsbezogene Preise im Arzneimittelmarkt. Mit der Zeit zeigte sich aber, dass das ursprüngliche politische Ziel des AMNOG, nämlich die Arzneimittelpreise am Mehrwert zu orientieren und damit die Kosten im Gesundheitssystem in einem angemessenen Rahmen zu halten, nur bedingt erreicht wurde. Heute wird für weniger verordnete Patentarzneimittel mehr Umsatz erzielt als noch vor zehn Jahren – ein Zeichen dafür, dass für einzelne Präparate immer höhere Preise aufgerufen werden. Die Herausforderungen der Zukunft, die sich vor allem in einer für die Patientinnen und Patienten bezahlbaren Arzneimitteltherapie widerspiegeln werden, können mit dem bestehenden System nur bedingt angegangen werden.

Künftig wird es noch mehr darauf ankommen, geeignete Modelle für eine gute Qualitätssicherung im Arzneimittelbereich und faire Preise zu etablieren und das AMNOG – welches von Anfang an als lernendes System bezeichnet

wurde – in der Nutzenbewertung und Preisfindung fortzuentwickeln. Dies immer mit dem Ziel vor Augen, sich an den Bedürfnissen der Patientinnen und Patienten zu orientieren, eine gute und verlässliche Versorgung sicherzustellen und dabei die Kosten des Gesundheitssystems im Rahmen zu halten. Die Vergangenheit hat gezeigt, wie wichtig die Erfahrungen und Hinweise aus der Praxis waren und immer noch sind, um sinnvolle Anpassungen des AMNOG-Verfahrens voranzutreiben.

Gesundheitspolitik war lange Zeit das Metier von Expertinnen und Experten, gilt es doch schon immer als sehr komplex und kompliziert, da die unterschiedlichsten Akteure und damit auch die unterschiedlichsten Interessen, die sich nicht selten diametral gegenüber stehen, berücksichtigt werden müssen. Gesundheitspolitik ist aber gleichzeitig etwas, das uns alle betrifft – uns Grünen geht die „Orientierung am Patienten“ im Gesundheitsbereich bisher jedoch noch nicht weit genug. Dafür gibt es zahlreiche Beispiele.

Patientinnen und Patienten sollten die Hoheit über ihre Gesundheitsdaten haben und einen fairen Zugang zu benötigten Therapien bekommen. Eine gute Arzneimittelversorgung darf außerdem nicht vom Geldbeutel des jeweiligen Staates abhängen. Wesentliche Elemente eines Gesundheitswesens, das die Selbstbestimmung der Patientinnen und Patienten respektiert und sie im Behandlungsprozess von Betroffenen zu Beteiligten macht, sind unabhängige und verständliche Information und Unterstützung, Qualitätstransparenz sowie die Stärkung ihrer Rechte gegenüber Leistungserbringern und Krankenkassen.

Aber wie kann die Partizipation der Patientinnen und Patienten in einem komplexen System wie der Arzneimittelnutzenbewertung sichergestellt oder vorangetrieben werden? Patientenvertreterinnen und -vertreter regen immer wieder an, den Betroffenen und den Selbsthilfeorganisati-

onen mehr Gehör zu schenken und praktische Erfahrungen in die Meinungsbildung mit einfließen zu lassen. Diese Anregung zieht sich durch die unterschiedlichen Anwendungsbereiche und ist aus grüner Sicht sinnvoll.

Damit die Interessen der Patientinnen und Patienten in der Selbstverwaltung mehr Gehör bekommen, ist eine bessere personelle und finanzielle Unterstützung der Patientenvertretung notwendig. Wir Grüne fordern, den Patientenvertreterinnen und -vertretern mehr Rechte zu übertragen, wie das Stimmrecht in Verfahrensfragen, die Wahl eines unparteiischen Mitglieds im Gemeinsamen Bundesausschuss oder eine stärkere Berücksichtigung in weiteren



Kordula Schulz-Asche, Krankenschwester und Kommunikationswissenschaftlerin, seit 2013 Mitglied des Deutschen Bundestages (Bündnis 90/Die Grünen), Mitglied im Bundestagsausschuss für Gesundheit. Sie ist in ihrer Fraktion zuständig für Pflegepolitik und Altenpolitik. Sie war von 2005 bis 2013 Landesvorsitzende von Bündnis 90/Die Grünen in Hessen. Zehn Jahre Mitglied des hessischen Landtages, dort unter anderem gesundheitspolitische Sprecherin ihrer Landtagsfraktion. Sie lebte 13 Jahre in Afrika und arbeitete u.a. für die Deutsche Gesellschaft für Internationale Zusammenarbeit (GIZ), den Deutschen Entwicklungsdienst (DED) im Bereich Gesundheitsaufklärung und im GIZ-Projekt „HIV/AIDS-Bekämpfung in Entwicklungsländern“.

Institutionen der Selbstverwaltung. Das theoretische Wissen aus Wissenschaft, Politik und Gesundheitsökonomie spielt bei der Nutzenbewertung von Arzneimitteln eine große Rolle. Es gilt aber auch, die Perspektive der Patientinnen und Patienten in das Verfahren einzubeziehen, da ihre Beteiligung eine ebenso große Bedeutung hat. Um eine umfassende Bewertung vornehmen zu können, braucht es daher eine Patientenbank, die den anderen Banken auf Augenhöhe begegnen kann.

Mit Blick auf die Priorisierung der Forschung und Entwicklung im Arzneimittelbereich, sollten sich die an den Patientinnen und Patienten orientierten Bedarfe zudem auch in den Forschungsvorhaben widerspiegeln. Dies ist momentan nicht der Fall. Geforscht wird vor allem an Arzneimitteln für diejenigen Indikationsgebiete, die die höchsten Gewinne erzielen. Dies hat zur Folge, dass beispielsweise Infektionskrankheiten oder auch seltene Erkrankungen vernachlässigt werden. Global betrachtet ist dieser Aspekt umso wichtiger, da wir immer noch erleben, dass Therapien für Krankheiten, die vor allem im Globalen Süden auftreten, weniger erforscht werden.

Zukünftig werden Patientinnen und Patienten hoffentlich eine noch lautere Stimme haben, wenn es um die Gestaltung ihrer Gesundheitsversorgung geht. Wir sollten uns als Akteure der Gesundheitspolitik nicht davor sträuben, sondern eine Partizipation ermöglichen. Im besten Fall denken wir die Zukunft der Gesundheitspolitik nicht nur national, sondern europäisch und international, um für zukünftige Gesundheitskrisen, gewappnet zu sein.

Optionen der Partizipation von Patienten – eine Sicht auf das rechtliche Rahmenwerk

Prof. Dr. Dr. Christian Dierks, Antanas Grimalauskas | Dierks + Company Rechtsanwalts-gesellschaft

Der rechtliche Rahmen für die Beteiligung der Patienten an einigen Gestaltungsoptionen der Gesetzlichen Krankenversicherung wird von Paragraph 140f SGB V, der Patientenbeteiligungsverordnung nach Paragraph 140g SGB V und der Geschäfts- sowie Verfahrensordnung des Gemeinsamen Bundesausschusses (G-BA) gebildet. Aktuell werden die Patientenvertreter im G-BA von den „maßgebliche Organisationen“ bestimmt und haben Mitberatungsrechte an den Entscheidungen des G-BA. Die Patientenvertreter sollten allerdings auch Anhörungsrechte und Mitentscheidungsrechte haben. Dafür ist eine Legitimation der Entscheidungen der Patientenvertreter erforderlich, die mit einer Umgestaltung des Systems der Patientenvertretung erreicht werden kann. Die zunehmende Bedeutung der Gesundheitsdaten wird die zentrale Rolle der Patienten in der Weiterentwicklung des Gesundheitssystems noch verstärken.

Eckpunkte der Patientenbeteiligung
Die Partizipation der Patienten am Gesundheitssystem als Gestalter und Entscheider ist ein wichtiges, gesellschaftlich konsentiertes Ziel. Ein großer Schritt für die Verbesserung der Patientenbeteiligung in der Gesundheitsversorgung war das Patientenrechtegesetz 2013. Im Rahmen dieses Gesetzes wurde das Antragsrecht der maßgeblichen Patienteninteressenvertretungsorganisationen im Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA) gestärkt¹.

Die grundsätzlichen Entscheidungen hinsichtlich der Gesetzlichen Krankenversicherung werden in Deutschland zwar vom Gesetzgeber im SGB V getroffen. An unterschiedlichen Stellen des SGB V wird aber dem G-BA die Aufgabe überlassen, den Leistungsanspruch der gesetzlich Versicherten nach dem allgemein anerkannten aktuellen Stand der medizinischen Erkenntnisse zu konkretisieren und Maßnahmen der Qualitätssicherung für Praxen und Krankenhäuser zu determinieren.

Die Entscheidungen des G-BA, die in der Regel in Form von Richtlinien getroffen werden, werden durch die Entscheidungen des Gesetzgebers mittelbar Input-legitimiert und im Rahmen der Rechtsaufsicht des Bundesministeriums für Gesundheit (BMG) auch im Output überwacht. Die Partizipation der Patienten am Gesundheitssystem der Gesetzlichen Krankenversicherung erfordert demzufolge eine Beteiligung an den Entscheidungen des G-BA.

2. Struktur der Patientenvertretung

Die gesetzliche Grundlage für die Beteiligung der Interessenvertretung der Patienten „in Fragen, die die Versorgung betreffen“, ist Paragraph 140f SGB V, dessen Absatz 2 dies konkretisiert. Die Interessenvertretungen der Patienten sollen danach ein Mitberatungsrecht, ein Anwesenheitsrecht und ein Antragsrecht im G-BA haben. Die Beteiligung

im G-BA wird allerdings nur für die „für die Wahrnehmung der Interessen der Patientinnen und Patienten und der Selbsthilfe chronisch kranker und behinderter Menschen auf Bundesebene maßgeblichen Organisationen“ ermöglicht.

Der Kreis dieser maßgeblichen Organisationen wird im Rahmen der Verordnung des Bundesministeriums für Gesundheit (Patientenbeteiligungsverordnung) bestimmt. Gemäß Paragraph 2 Abs. 1 PatBeteiligungsV gelten der Deutsche Behindertenrat, die Bundesarbeitsgemeinschaft der PatientInnenstellen, die Deutsche Arbeitsgemeinschaft Selbsthilfegruppen e.V. und der Verbraucherzentrale Bundesverband e.V. als maßgebliche Organisationen. Es ist kritisch zu hinterfragen, ob diese einmalige Festlegung der Maßgeblichkeit nicht doch auch regelmäßig überprüft und hinterfragt werden müsste. Wenn anderen Organisationen als den „maßgeblichen“ die Beteiligung mit Hinweis darauf verwehrt wird, dass Sie eben nicht maßgeblich sein, weil gerade sie nicht als maßgeblich bestimmt wurden, läge ein Zirkelschluss vor, der eine Abbildung der realen Interessenlage blockieren könnte.

Gem. Paragraph 140f Abs. 2 S. 3 SGB V darf die Anzahl der

Patientenvertreter in einem Gremium höchstens der Zahl der von dem Spitzenverband Bund der Krankenkassen entsandten Mitglieder in diesem Gremium entsprechen. Aus diesem Grund dürfen die maßgeblichen Organisationen in das Plenum des G-BA bis zu fünf Mitgliedern und in den Unterausschuss Arzneimittel bis zu sechs Mitglieder entsenden. Da die überwiegende Anzahl der Patientenvertreter beim G-BA aus den Reihen der Mitgliedsverbände der BAG SELBSTHILFE kommt, koordiniert diese für die in der Patientenbeteiligungsverordnung genannten Personen die Entsendung der Patientenvertreter in den G-BA².

3. Rechte der Vertreter

Die Rechte der Patientenvertreter im G-BA ergeben sich aus Paragraph 140f SGB V, der Patientenbeteiligungsverordnung sowie der Geschäftsordnung und der Verfahrensordnung des G-BA. Neben den bereits erwähnten Mitberatungs-, Anwesenheits- und Antragsrechten stehen den Vertretern Rederechte, Informationsrechte und Ansprüche auf Erstattung der Reisekosten, Ersatz des Verdienstausfalls sowie Pauschalbetrag für Zeitaufwand (Paragraph 140f Abs. 5 SGB V) zu. Die Vertreter haben somit ein relativ gut ausgepräg-



Prof. Dr. Dr. Christian Dierks ist Rechtsanwalt, Arzt und Gründer der international tätigen deutschen Rechtsanwaltskanzlei Dierks+Company. An der Charité lehrt er zur Zeit in Health Data Sciences.



Antanas Grimalauskas ist als wissenschaftlicher Assistent in der Rechtsanwaltskanzlei Dierks+Company tätig. Er hat an der Humboldt Universität zu Berlin Rechtswissenschaften studiert.

tes Mitberatungsrecht. Nicht umfasst werden von den Rechten der Vertreter die Anhörung und Mitentscheidung im G-BA. An seinen Beratungen nehmen die Vertreter der maßgeblichen Organisationen ohne Stimmrecht teil und haben keinen Anspruch auf Begründung der abweichenden Entscheidungen.

In der rechtswissenschaftlichen Literatur wird seit langem die Stärkung der Rechte der Patientenvertreter gefordert³. Insbesondere die Stimmrechte und ein Veto für bestimmte Fragestellungen seitens Patientenvertreter werden als wichtiges Mittel zur Verbesserung der Patientenpartizipation an den Fragen des Gesundheitswesens angesprochen. Zu beachten ist allerdings, dass ohne Inputlegitimation der Entscheidungen der Patientenvertreter solche Gestaltungsmittel problematisch sind. Aus diesem Grund sollten alternative Modelle der Patientenbeteiligung untersucht werden.

4. Optionen für die Verbesserung der Patientenvertretung

Ein Stimmrecht der Patientenvertreter ist ohne die Legitimation ihrer Beteiligung nicht realisierbar. Diese könnte dadurch erreicht werden, dass die Patientenvertreter nicht von den maßgeblichen Organisationen bestimmt werden, sondern vom Bundestag, zum Beispiel für fünf Jahre, gewählt werden. Die zurzeit bestehende Überlassung der Auswahlbefugnis an die gesetzlich im Voraus bestimmten maßgeblichen Organisationen führt zur fehlenden Legitimation der Vertreter und lässt eine Vertretung nicht umfasster Patientengruppen außer Acht.

Die Beteiligung einer breiteren Repräsentanz der Patienten an der Gesundheitsversorgung kann nur dann gewährleistet werden, wenn allen Bürgern die Chance zur Repräsentation und Interessenvertretung der Patienten im G-BA geboten wird. Deswegen sollten sich alle Bürger für die

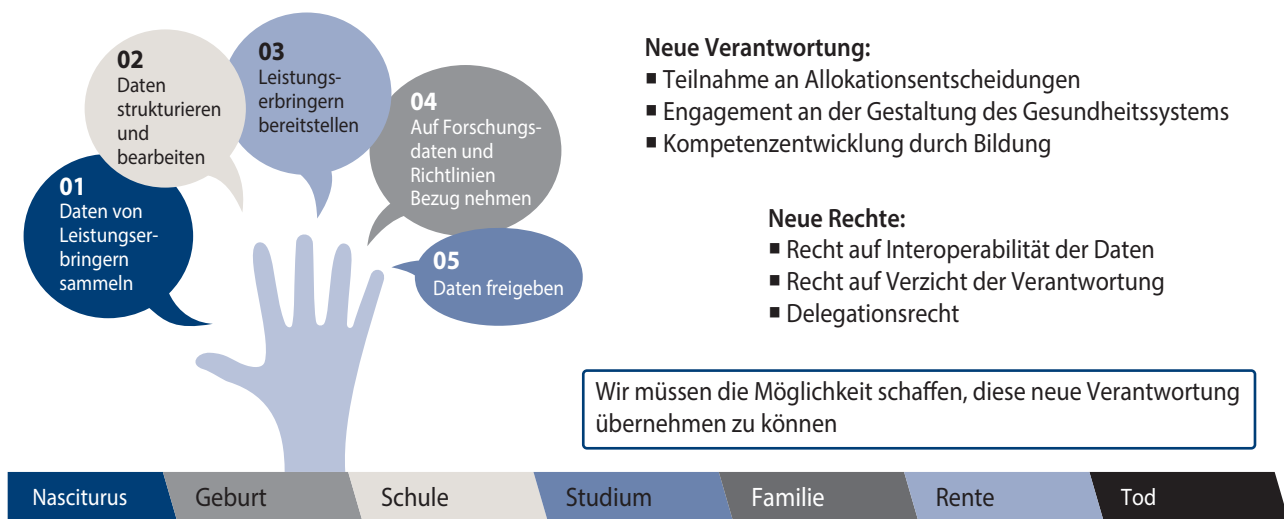
Rolle der Interessenvertreter bewerben können, um nach Prüfung ihrer Eignung durch das BMG als Vertreter der Patienteninteressen im G-BA akkreditiert werden zu können. Die Qualifikationskriterien könnten in der Patientenbeteiligungsverordnung beschrieben werden und sollten insbesondere Betroffenenkompetenz, Fachkompetenz und Systemkompetenz umfassen. Die gewählten Patientenvertreter sollten an Fortbildungen teilnehmen, um ihre Eignung aufrechtzuerhalten. Der Zeitaufwand im Rahmen des Einsatzes der Patientenvertreter sollte innerhalb des Paragraphen 140f Abs. 5 SGB V angemessen erstattet werden.

Auch das Verfahren der Zusammenarbeit zwischen den gewählten Interessenvertretern sollte angepasst werden, um deren Arbeit für alle Patienten nachvollziehbarer zu machen, in dem die Transparenz erhöht wird. Darüber hinaus sollten die Patientenvertreter nicht zur Einstimmigkeit verpflichtet werden. Eine solche Verpflichtung würde die Effektivität der Patientenvertreter reduzieren und deren individuelle Legitimation gefährden.

5. Digitalisierung stärkt Patientenzentriertheit

Unabhängig von der gesetzlichen Ausgestaltung der Patientenvertretung wird die Digitalisierung die zentrale Rolle der Patienten an der Weiterentwicklung des Gesundheitswesens sicherstellen. Die Daten sind die wichtigste Grundlage der modernen Medizin und die Patienten sind diejenigen, die die Dispositionsmacht über die meisten Daten besitzen werden. Im Laufe des Lebens eines Menschen wechseln Krankenversicherungen, Ärzte, Betreuer und Pfleger. Einzig die Patienten selbst bleiben als Kontinuum hinsichtlich des persönlichen Datenpools bestehen⁴. Die zunehmende Rolle der Gesundheitsdaten wird die Stellung der Patienten im Gesundheitswesen enorm verändern. Die Patienten werden nicht mehr die „Betroffenen“ sein, die auf gesetzgeberische Entscheidungen hoffen, um ihre Beteili-

Digitalisierung stärkt Patientenzentriertheit



Quelle: Dierks & Company

Abbildung 1: Die zunehmende Rolle der Gesundheitsdaten wird die Stellung der Patienten im Gesundheitswesen enorm verändern – die Digitalisierung wird die Patientenzentrierung stärken.

gungsrechte zu stärken. Mit der Digitalisierung wird die Patientenzentriertheit des Gesundheitswesens gestärkt und den Patienten eine Schlüsselrolle in den Entscheidungen der Gesundheitsversorgung überantwortet.

Mit den neuen Rechten der Patienten wird allerdings auch eine neue Verantwortung auf sie zukommen: Die Patienten werden in der Zukunft an Allokationsentscheidungen teilnehmen, sich in der Gestaltung des Gesundheitssystems engagieren und eigene Kompetenz durch Bildung entwickeln müssen. Aus diesem Grund müssen weitere Möglichkeiten geschaffen werden, die Patienten bei der Übernahme dieser Verantwortung mit Edukationsangeboten ähnlich denen des Paragraphen 20k SGB V zu unterstützen, um die kontinuierliche Verbesserung der Gesund-

heitsversorgung mit Betroffenenkompetenz und Präferenzentscheidungen zu erreichen.

Literatur

¹ Gesetzesentwurf der Bundesregierung, BT-Drs. 17/10488.

² BAG Selbsthilfe: Patientenbeteiligung, abrufbar unter: <https://www.bag-selbsthilfe.de/informationsportal-interessenvertretung/gesundheits-und-pflegepolitik/patientenbeteiligung/>.

³ Francke, R. / Hart, D.: Bürgerbeteiligung, 214; Klafki, A. / Loer, K.: Verwaltungsarchiv 108 (3), 343-365; Kingreen, T.: VSSAR 2019, 155-172; Pitschas, R.: MedR 2006, 451-457; Sodan, H. / Hadank, B.: NZS 2018, 804-809; Huster, S.: RPG 2015, 10-13; Gassner, U.: NZS 2016, 121-127.

⁴ Dierks, C.: Bundesgesundheitsbl 2019 (62) 1113-1119.

Patienten in der Nutzenbewertung – ein Erfahrungsbericht

Dr. Martin Danner | BAG Selbsthilfe

Da der Nutzenbegriff an sogenannten patientenrelevanten Endpunkten ausgerichtet ist, ist die Patientenbeteiligung am HTA-Prozess der Nutzenbewertung in Deutschland kein fakultatives Beiwerk, sondern eine der methodischen Grundlagen des Bewertungsverfahrens. Aufgrund der gut ausgebildeten Strukturen der Patienten- und Selbsthilfeorganisationen in Deutschland ist es möglich, diese methodisch notwendige Beteiligung durchgängig adäquat umzusetzen. Notwendige Grundlage für diese spezifische Beratungsbeteiligung ist die Qualifizierung und das gremienbezogene Empowerment der Patientenvertreterinnen und -vertreter. Dieses Empowerment ist wiederum die Grundlage für eine stärkere Patientenorientierung der Versorgung, unabhängig von konkreten Bewertungsverfahren.

Das Ziel der Nutzenbewertung im deutschen Gesundheitswesen besteht darin, nur solche diagnostischen und therapeutischen Optionen zusätzlich in den Leistungskatalog der gesetzlichen Krankenversicherung aufzunehmen, die im Vergleich zur bisherigen Versorgung einen Zusatznutzen aufweisen. Die Nutzenbewertung von neuen Arzneimitteln nach dem AMNOG ist nur ein Anwendungsfall dieses Grundgedankens. Paragraph 35a SGB V verdeutlicht zugleich einen weiteren Grundgedanken: Der Nutzenbegriff soll an sogenannten patientenrelevanten Endpunkten ausgerichtet werden.

Dies ist eine ganz entscheidende Weichenstellung auch für die Patientenbeteiligung: Es ist kein fakultatives Beiwerk oder demokratietheoretisches Experiment, die Patientensicht in den HTA-Prozess einzubinden, sondern Teil der Methodik zur Bestimmung der Patientenrelevanz, die Dreh und Angelpunkt der zu führenden Nutzenbeweise sein muss. Dies muss stets im Blick behalten werden, auch wenn der Vergleich zu Beteiligungsprozessen in anderen Ländern angestellt wird oder wenn theoretische Beteiligungsmodelle aus übergeordneten Maximen abgeleitet werden:

Geht es in anderen Gesundheitssystemen darum, eher Fragen der Rationierung von Gesundheitsleistungen ethisch oder über akzeptanzstiftende Beteiligungsformen zu bearbeiten, dann erhält die Patientenbeteiligung die Konnotation einer Bürgerbeteiligung. Dreht sich die Diskussion darum, Legitimationsdefizite der HTA-Institutionen unter demokratietheoretischen Vorzeichen aufzuwiegen, dann wirft dies die Frage auf, ob über die Patientenbeteiligung ein Plus an Legitimation erzielt werden kann.

All diese Aspekte spielen bei der Patientenbeteiligung im AMNOG-Prozess keine zentrale Rolle. Hier geht es um die Einbindung der Betroffenenkompetenz zur Klärung der

Patientenrelevanz von Endpunkten, aber auch um eine gewisse Kontrollfunktion bei der methodischen Bewertung von Studiendesigns und -ergebnissen. Indem auch die Patientenseite diese eigenständig würdigt, können einseitige Interpretationen bestimmter Daten durch andere Beteiligte besser vermieden werden.

Diesem multifunktionalen Ansatz tragen auch die nach Paragraph 140f SGB V zur Entsendung von Patientenvertreterinnen und -vertretern berufenen Organisationen Rechnung. Glücklicherweise können wir nämlich in Deutschland auf ein weitverzweigtes Netzwerk von Einrichtungen der Patientenberatung, von Selbsthilfegruppen und Selbsthilfeorganisationen sowie von Sozialverbänden zurückgreifen.



Dr. Martin Danner ist Jurist und Bundesgeschäftsführer der Bundesarbeitsgemeinschaft SELBSTHILFE von Menschen mit Behinderung und chronischer Erkrankung und ihren Angehörigen e. V. (BAG SELBSTHILFE). Nach seinem Studium in Heidelberg hat er einige Jahre als Rechtsanwalt mit der Spezialisierung im Gesundheitsrecht gearbeitet, bevor er die Leitung des Referats Gesundheitspolitik und Selbsthilfeförderung der BAG SELBSTHILFE übernommen hat. Er ist Sprecher der Patientenvertretung beim G-BA und u. a. im Wissenschaftlichen Beirat des Ärztlichen Zentrums für Qualität in der Medizin (AZQ) und im IQWiG-Kuratorium aktiv.

Zu fast jedem Erkrankungsbild gab es schon vor der Einführung der Patientenbeteiligung im Gesundheitswesen indikationsübergreifende Zusammenschlüsse von Patientinnen und Patienten. Da diese Zusammenschlüsse in Vereinsform organisiert sind, bestehen überdies demokratische Willensbildungsstrukturen, die dafür sorgen, dass Aussagen zu Versorgungsbedarfen, Anliegen und Forderungen nicht nur von einzelnen Individuen, sondern von ganzen Patientengruppen strukturiert in die Gremien eingebracht werden können.

Auch Anwendungserfahrungen zu diagnostischen und therapeutischen Optionen werden in den Patientenorganisationen diskutiert und dabei aggregiert. Dies ist der Hintergrund, warum die Organisationen nach Paragraph 140f SGB V mittlerweile seit fast 20 Jahren in der Lage sind, Menschen mit spezifischer Betroffenenkompetenz in die Fachgremien des Gesundheitswesens zu entsenden.

Leider reicht aber die Betroffenenkompetenz allein nicht aus, um in den Gremien bestehen zu können. Hinzukommen muss die Kompetenz im Umgang mit den teilweise hochkomplexen regulatorischen Vorgaben für die HTA-Verfahren, mit den nicht minder komplexen methodischen Anforderungen an Studienauswertungen und natürlich das notwendige rhetorische Geschick, die eigenen Positionen in Gremien einzubringen, die vom Habitus des Etablierten geprägt sind.

Es ist eine hervorragende Leistung der Patientenorganisationen in Deutschland – auch im internationalen Vergleich –, dass es in den vergangenen Jahren gelungen ist, ein Netzwerk ehrenamtlicher Expertinnen und Experten aufzubauen, die über diese Fachkenntnisse verfügen. Diese Personen bilden zusammen mit den hauptamtlichen Mitarbeiterinnen und Mitarbeitern der Patientenorganisationen das fachliche Rückgrat der Patientenvertretung. Die unterschiedlichen Kompetenzprofile, die in den Patienten-

organisationen vorhanden sind, können für die Mitwirkung der Patientenvertretung in den Verfahren der Nutzenbewertung ganz gezielt nutzbar gemacht werden. In die einschlägigen Gremien des Gemeinsamen Bundesausschusses (G-BA) werden nämlich sowohl sog. themenbezogene Vertreterinnen und Vertreter entsandt, die aus ihrer Betroffenheit als Patientin/Patient heraus Hinweise im Bewertungsprozess geben können, als auch sog. ständige Vertreterinnen und Vertreter mit generalistischer Kompetenz. Diese betrifft zum einen die Kenntnis der teilweise recht komplizierten Regularien des AMNOG-Prozesses, aber auch Kenntnisse zu den Entscheidungsmaximen der entscheidungsberechtigten Beteiligten, vor allem aber methodische Kenntnisse zur Bewertung von Studiendesigns und Studienergebnissen.

Es ist durchaus als eine sehr erfreuliche Entwicklung anzusehen, dass auch so manche Person, die als themenbezogene Vertretung mehrfach oder besonders intensiv an Bewertungsverfahren mitgewirkt hat, mit der Zeit ebenfalls auf diese generalistische Kompetenz zurückgreifen kann. Dies hat durchaus positive Effekte hinsichtlich des Verständnisses evidenzbasierter Medizin in der Beratungsarbeit der Selbsthilfe und somit auch über die reine Arzneimittelnutzenbewertung hinaus. Nach und nach vergrößert sich aber auch der Kreis der Personen, die nicht nur ihre Betroffenenkompetenz, sondern auch Rechtskenntnisse, methodisches Wissen und rhetorische Versiertheit in die Gremien des Gesundheitswesens einbringen können.

Man könnte daher sagen, dass strukturierte und nachhaltige Patientenbeteiligung auch ein Prozess des Patient-Empowerments ist. Andererseits ist aber zu beachten, dass es in der Patientenvertretung stets auch eine personelle Fluktuation gibt. Daher gilt es, immer wieder neue themenbezogene Vertreterinnen und Vertreter für eine Mitwirkung an dem doch sehr technischen AMNOG-Prozess

zu gewinnen und an eine Mitwirkung heranzuführen. Hier hilft es sehr, wenn die ständigen Vertreterinnen und Vertreter als „alte Hasen“ die neu Hinzugekommenen an die Hand nehmen, aber durchaus andererseits auch respektvoll deren Input als Voten der Patientenvertretung zur Geltung kommen lassen. Oftmals gilt es, schlichtweg auch Mut zu machen, um in einem Gremium von 40 bis 50 hochkarätigen Fachexperten das Wort zu ergreifen.

Eine ebenso wichtige Unterstützungsfunktion kommt dabei den Mitarbeiterinnen der Stabsstelle Patientenbeteiligung zu, die die Patientenvertretung unterstützt und die beim G-BA angesiedelt ist. Die Mitarbeiterinnen der Stabsstelle haben nach Paragraph 140f SGB V ausschließlich die Aufgabe, die Patientenvertreterinnen und -vertreter bei der Mitwirkung in den Gremien des G-BA zu unterstützen. Ihnen kommt somit eine andere Aufgabe zu als allen anderen Mitarbeitenden der Geschäftsstelle. Während sie die Entscheidungsfindungsprozesse des G-BA unter strikter Wahrung der Neutralität fachlich zu begleiten haben, ist die Stabsstelle ausschließlich zur Unterstützung der Patientenvertretung da (vgl. Paragraph 140f Absatz 6 SGB V).

Diese Unterstützung reicht von der Einweisung neuer themenbezogener Vertreterinnen und Vertreter in die Abläufe des G-BA über die Konzeption und Umsetzung von Schulungsveranstaltungen bis hin zur Organisation von Abstimmungstreffen, zum Ausformulieren von Anträgen, zur methodischen Prüfung von Studiendesigns und Studiendaten bis hin zur Abgabe vorab abgestimmter Voten der Patientenvertretung.

Die beschriebenen Qualifizierungsprozesse von Vertreterinnen und Vertretern aus den Patientenorganisationen wären ohne das sachkundige Empowerment durch die Stabsstelle Patientenbeteiligung nicht möglich gewesen. Noch so gut qualifizierte Mitstreiterinnen und Mitstreiter können sich aber in Nutzenbewertungsverfahren nicht

richtig einbringen, wenn die dortigen Beteiligungsmöglichkeiten dies nicht zulassen.

Es hat sich auch als überaus bedeutsam erwiesen, dass die Patientenvertretung nicht nur ein Stellungnahmerecht, sondern ein echtes Mitberatungsrecht bei der frühen Nutzenbewertung zuerkannt bekommen hat. Oftmals können Hinweise zur Versorgungsrealität, zur Relevanz bestimmter Subpopulationen, zur Anwendung von Vergleichstherapien oder zur Bewertung der Studienlage nur konkret im Hinblick auf die Statements der übrigen Beteiligten hin eingebracht werden. Hierdurch gelingt es oft, ein konsentiertes Votum aller gemeinsam zu erarbeiten. Der große Anteil konsentierter Voten in den AMNOG-Verfahren ist hierfür ein eindrucksvoller Beleg. Die eher akademische Diskussion zum Stimmrecht der Patientenvertretung ist bezogen auf die AMNOG-Verfahren daher überflüssig.

Teilweise ist der AMNOG-Prozess aber durchaus auch für die Patientenvertreterinnen und -vertreter mit kräftigen Bauchschmerzen verbunden: Wird die Ermöglichung einer bestimmten Darreichungsform oder die Bereitstellung einer weiteren Behandlungsoption bspw. bei der Behandlung von Anfallsleiden als „irrelevant“ eingestuft, da diese Sachverhalte nach den Regularien des AMNOG-Prozesses nicht per se einen Zusatznutzen begründen können, dann ist dies aus Patientensicht nur schwer verständlich. Nur bedingt hilft es da, darauf zu verweisen, dass es im Kern um ein Preisfestsetzungsverfahren geht, so dass der zusätzliche Nutzen vor allem hinsichtlich der Frage eines höheren Preises reflektiert wird.

Gerade Instrumente wie das sog. Arztinformationssystem zu AMNOG-Präparaten zeigen nämlich, dass es natürlich auch um die Festlegung des Kreises therapeutischer Optionen geht. Je mehr an dieser Schraube gedreht wird, desto mehr stellt sich die Frage, ob der Zusatznutzen nicht auch stärker im Hinblick auf das Alltagsgeschehen der Me-

dikationen bestimmt werden muss. Die Patientenvertretung bringt sich gern auch in solche methodischen Diskurse ein. Der Aufstieg des Endpunkts der „Verbesserung der Lebensqualität“ im Kanon der Nutzendimensionen ist hierfür ein gutes Beispiel. Zwar wurde von den Patientenvertreterinnen und -vertretern von Anfang an immer wieder betont, dass die Verbesserung der Lebensqualität ein wichtiger Aspekt bei der Bestimmung des Zusatznutzens von Arzneimitteln sein kann. Erst die daran anschließende Methodendiskussion führte aber dazu, dass die Sichtweise, wonach dies alles doch nur subjektive Konstrukte seien, nach und nach zurückgedrängt werden konnte, so dass sich mittlerweile eine recht stabile Standardbildung hinsichtlich der Instrumente und Verfahren der Lebensqualitätsmessung eingestellt hat.

Mittlerweile gehört es zum fest etablierten Abwägungsprozess der Nutzenbewertung, dass die Plausibilität von Bewertungsergebnissen zu Endpunkten der Morbidität bzw. der Vermeidung von Nebenwirkungen immer auch mit Daten zur Verbesserung der Lebensqualität abgeglichen werden. Ebenso werden insbesondere Ergebnisse zur Verlängerung der Lebenszeit vor allem seitens der Patientenvertretung immer vor dem Hintergrund bewertet, wie es denn in der gewonnenen Zeit mit der Lebensqualität der Patientinnen und Patienten bestellt ist. Zumindest aus Sicht der Patientenvertretung hat gerade in diesem Bereich die Patientenbeteiligung auch dazu geführt, den Methodenkoffer der Nutzenbewertung patientenorientierter auszugestalten.

Alles in allem ist daher festzuhalten, dass die AMNOG-Nutzenbewertung die Patientenbeteiligung nicht nur beinhaltet, sondern geradezu voraussetzt. Ziel jedes Nutzenassessments in der Medizin muss es sein, die Bedarfe der Patientinnen und Patienten bestmöglich zu erfassen.

Gesundheitskompetenz und Patientenpartizipation in Deutschland und der EU

Jan Geissler | Patvocates, EUPATI Deutschland, LeukaNET, Mitglied des Strategiekreises der Nationalen Dekade gegen Krebs, EU Cancer Mission Assembly, Ethik-Kommission der Bayerischen Landesärztekammer, Deutsche CML-Allianz, ISPOR Patient Roundtable Europe; Stefan Huber | Redakteur und Projektmanager

*Patient*innenbeteiligung in der Forschung steckt in Deutschland mitunter noch in den Anfängen, obwohl Patient*innen mit ihrem spezifischen Erfahrungswissen einen wertvollen Beitrag bereits zu Beginn eines Forschungsvorhabens leisten können. Diese auf Augenhöhe am Forschungsprozess zu beteiligen und Gesundheitsforschung auf ihre Bedürfnisse auszurichten, ist deshalb auch eines der Ziele der Nationalen Dekade gegen Krebs. Essentiell sind dafür informierte Patient*innen und Schulungen, wie sie zum Beispiel die Europäische Patientenakademie anbietet. Auf EU-Ebene hingegen ist Patient*innenbeteiligung gut verankert und wird durch verschiedene EU-Initiativen weiter gefestigt.*

Der Wandel von passiven Studienteilnehmer*innen hin zu Partner*innen auf Augenhöhe in der Arzneimittelforschung ist eine Entwicklung, die von Patient*innenseite in den vergangenen Jahren beispielsweise durch die Beteiligung in Selbsthilfegruppen, Patientenorganisationen oder Mitwirkung in Beratungsgremien oder Ethikkommissionen mehr und mehr forciert wird und von der auch die Forschungsseite in der Gestaltung und Durchführung aussagekräftiger, effizienter Studien profitieren kann: Denn zum einen haben Patient*innen und ihre Angehörigen den besten Einblick in das Leben mit einer Erkrankung und ihren Einfluss auf Arbeitsfähigkeit, soziales Leben oder seelisches Wohlbefinden sowie eine eigene Sicht auf Verständlichkeit und Angemessenheit von Patienteninformationen und spezifisches Erfahrungswissen. Zum anderen haben sie oft eine anders gewichtete Risiko-Nutzen-Abwägung als die behandelnden Ärzt*innen, etwa in Bezug auf Diagnostik, Risiken, Nebenwirkungen oder Lebensqualität, und können dazu präzise Auskunft geben.

Dass bei der Einbindung von Patient*innen und ihrer Perspektive in der Gesundheitsforschung noch viel Potenzial ungenutzt ist, zeigte bereits eine Befragung von Patient*innen, Angehörigen, Ärzt*innen und Pflegekräften durch die Europäische Patientenorganisation Myeloma Euronet aus dem Jahr 2009¹. So galten für Myelom-Patient*innen beispielsweise Haarausfall, Neuropathie oder Atemprobleme als Therapienebenwirkungen mit großem negativem Einfluss auf das Gesamtbefinden, die behandelnden Ärzt*innen allerdings schätzten diese weniger problematisch ein. Thrombotische Ereignisse oder Kieferschäden stuften die Ärzt*innen hingegen als deutlich gravierender als die Patient*innen selbst ein.

Hinzu kommt, dass eine an den oft sehr unterschiedlichen Bedürfnissen von Patient*innen ausgerichtete Diffe-

renzung der Forschung notwendig ist, denn deren Präferenzen variieren stark – auch innerhalb Subgruppen einer Erkrankung. Problematisch ist hier, dass diese Bedürfnisse üblicherweise unter der sogenannten Patient*innenstimme zusammengefasst und der Heterogenität der Patient*innen und ihrer individuellen Bedarfe nicht in einem angemessenen Rahmen beforscht werden oder Rechnung getragen werden. Dies zeigt auch eine Umfrage von Myeloma UK² mit dem Ergebnis, dass eine starke Toxizität unter Jüngeren, Arbeitenden und sich um versorgungsbedürftige Verwandten kümmernden Familienmitgliedern und denen, die schon öfter schwerwiegende Toxizität erlebt hatten, höher bewertet wurde (siehe Abbildung 1).

Deshalb hat es sich beispielsweise die Nationale Dekade gegen Krebs, eine Initiative, die das Bundesministerium für

Bildung und Forschung (BMBF) im Frühjahr 2019 auf den Weg gebracht hat, zum Ziel gesetzt, Patient*innen nicht nur in der Versorgung, sondern auch in der Gesundheitsforschung stärker – und auf Augenhöhe – einzubinden. In einer Erklärung heißt es: „Gesundheitsforschung ist nur dann erfolgreich, wenn sie die Menschen erreicht. Wir werden daher die Gesellschaft zum Beispiel über die Selbsthilfe oder andere Patientenorganisationen in onkologische Forschungsthemen einbeziehen. Die Bürgerinnen und Bürger werden damit aktiv in die Dekade eingebunden und bringen zusätzliche Perspektiven und Expertisen ein.“

Für die Initiative konnte das BMBF neben dem Bundesministerium für Gesundheit auch Partner aus Forschung, Versorgung und Selbsthilfe sowie Patientenorganisationen gewinnen. Impulsgeber ist ein Strategiekreis, der mit sie-



Jan Geißler hat seit seiner Diagnose mit chronischer myeloischer Leukämie im Jahr 2001 Patientenorganisationen wie beispielsweise LeukaNET e. V. gegründet bzw. mitbegründet und war zudem Direktor der Europäischen Patientenakademie EUPATI, deren deutsche Plattform er nach wie vor leitet. Er repräsentiert die Patientenperspektive in Ausschüssen und Initiativen wie etwa der EU Cancer Mission Assembly oder der Nationalen Dekade gegen Krebs. Auch ist er Geschäftsführer von Patvocates, eines Thinktanks und Beratungsunternehmens für Patientenvertretung, Gesundheitspolitik und medizinische Forschung.

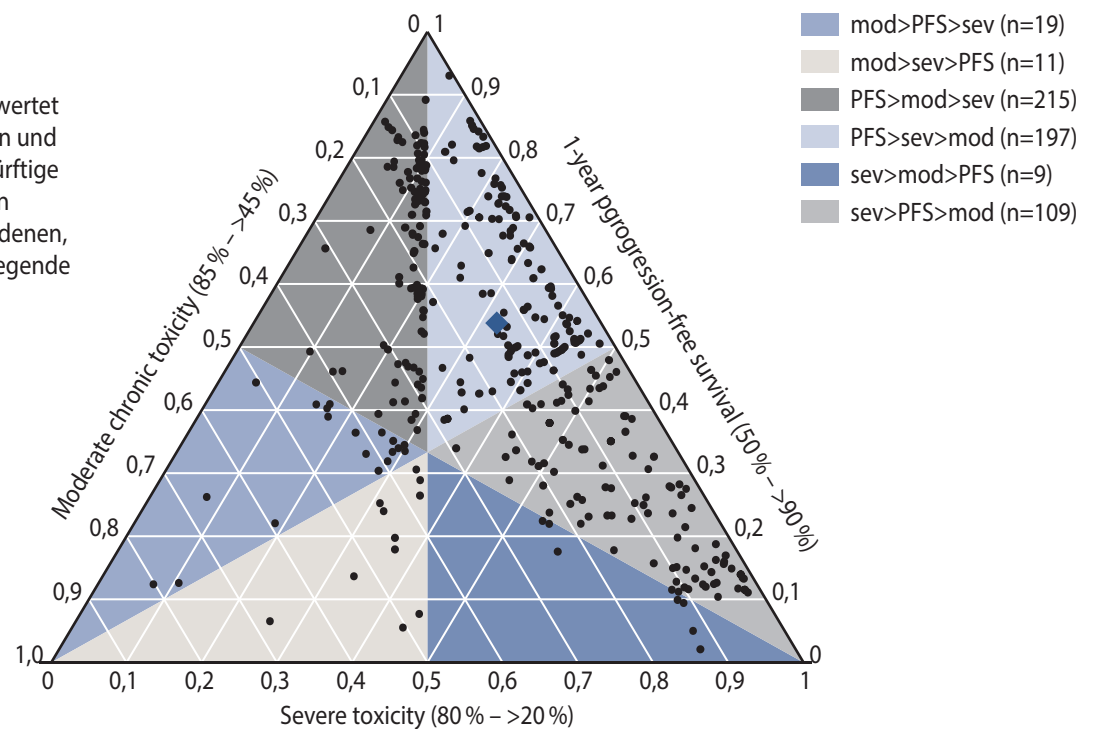


Stefan Huber arbeitete nach seinem Studium in den Bereichen Lehramt Gymnasium und Literaturwissenschaften als Redakteur in einem Verlag und war dort mitverantwortlich für Fachmagazine. Seit Herbst 2020 ist er redaktionell und als Projektmanager für diverse Patientenorganisationen, darunter LeukaNET e. V., tätig.

Patientenpräferenzen variieren auch in Subgruppen innerhalb einer Erkrankung

In diesem Beispiel:

- Starke Heterogenität
- Starke Toxizität höher bewertet bei Jüngeren, Arbeitenden und sich um versorgungsbedürftige Verwandten kümmernden Familienmitgliedern und denen, die schon öfter schwerwiegende Toxizität erlebt hatten



PFS = Progression free survival

Quelle: Survey with 560 myeloma patients from the Myeloma UK, replicating the pilot of MPE, MPNE and EMA, D. Postmus et al. (2017) The Oncologist

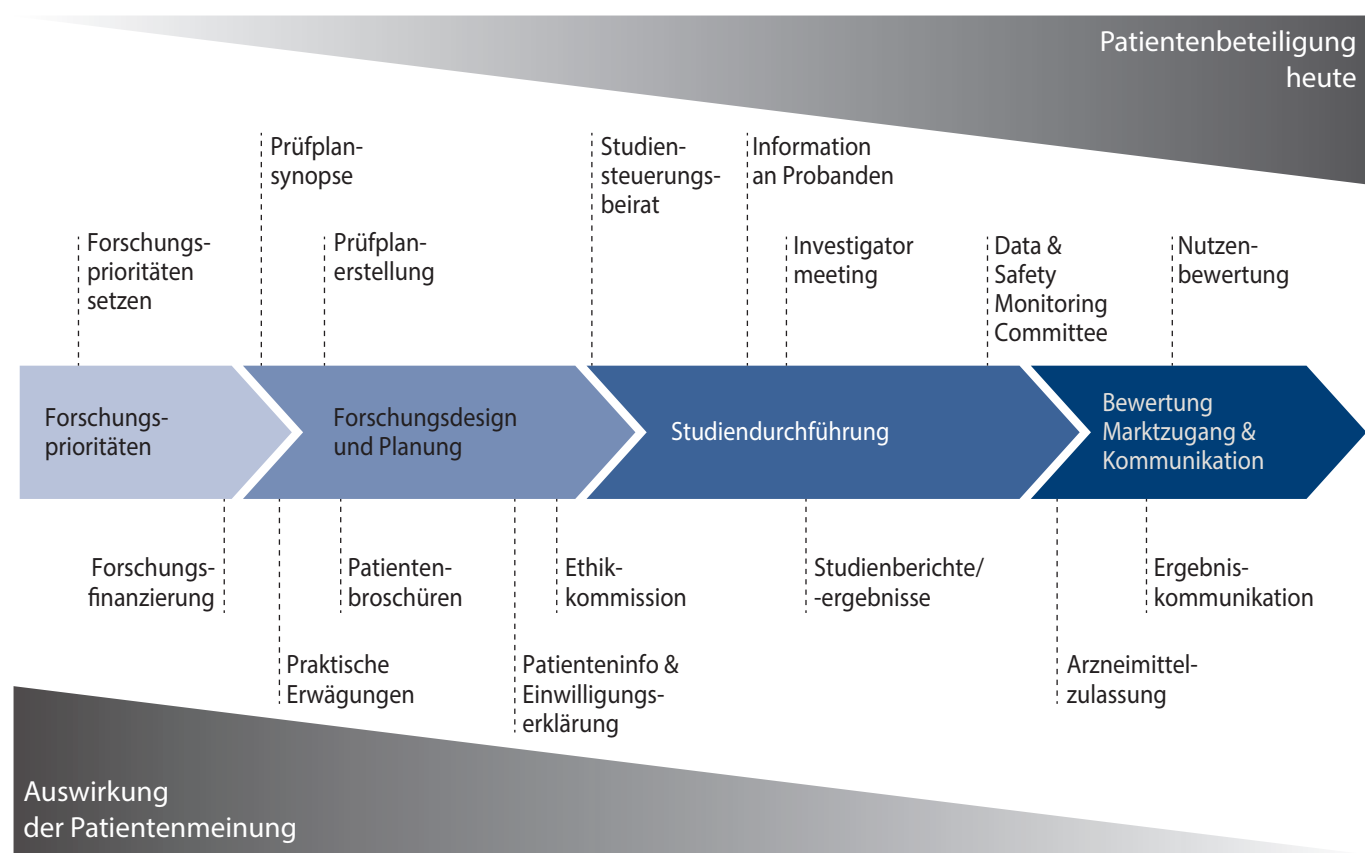
Abbildung 1: Die Präferenzen von Betroffenen variieren auch innerhalb der Subgruppe einer Erkrankung. Die Heterogenität der Patient*innen und ihre Bedarfe werden bisher nicht in ausreichendem Maße erforscht.

ben Handlungsfeldern einen Rahmen für die Aktivitäten der Initiative vorgibt und sich aus Mitgliedern der Partnerorganisationen der Dekade zusammensetzt, darunter als einer von zwei Patientenvertreter*innen auch Jan Geißler.

Drei weitere Arbeitsgruppen der Initiative adressieren zentrale Forschungsaufgaben und Lösungsstrategien: Wissen generieren durch Vernetzung von Forschung und Ver-

sorgung mit Fokus auf Vernetzung und systematischer Auswertung von Forschungs- und Versorgungsdaten, große ungelöste Fragen der Krebsforschung, die sich den Stärken und Schwächen der deutschen Forschungsakteure, bestehenden Forschungslücken und -potenzialen sowie dem Vergleich mit internationalen Maßnahmen widmet, und Prävention mit dem Fokus auf Krebsvorsorgemaßnahmen.

Partizipation in frühen Phasen hat den größten Einfluss auf Ergebnisse



Quelle: Geissler, J., Ryll, B., Leto di Priolo, S., Uhlenhopp, M.: Improving Patient Involvement in Medicines Research and Development: A Practical Roadmap. Therapeutic Innovation & Regulatory Science 2017

Abbildung 2: Je später die Beteiligung von Patient*innen im Entwicklungsprozess geschieht, desto schwieriger und weniger wirkungsvoll können sie Einfluss auf patientenbedarfsorientierte Forschungsprioritäten nehmen.

Alle Aktivitäten der Dekade ordnen sich dem Leitgedanken unter, Gesundheitsforschung konsequent auf Augenhöhe an den Bedürfnissen von Patient*innen auszurichten. Entsprechend legt eines der sieben Handlungsfelder den Fokus auf die Stärkung der Patient*innenpartizipation, um

spezifische Erfahrungen und Expertise von Betroffenen stärker in der Krebsforschung zu berücksichtigen. In der Versorgung beispielsweise werden Patient*innen bereits immer häufiger in den Entscheidungsprozess eingebunden – denn ihre Erwartungen zur Lebensqualität und Ne-

benwirkungen unterscheiden sich oft deutlich von denen der behandelnden Ärzt*innen.

In der Krebsforschung selbst, etwa dem Design von klinischen Studien, in der Gestaltung von Forschungsförderungsprogrammen oder in Ethikkommissionen, sind Patient*innen hingegen in Deutschland bis heute nur selten eingebunden. Eine Beteiligung erfolgt hierzulande derzeit meist erst gegen Ende des Forschungsprozesses, beispielsweise in Erstattungsfragen oder der Ergebniskommunikation, weshalb eine aktive Partizipation und Einflussnahme oft nur noch in der Bewertung bereits getroffener Forschungsentscheidungen und -ergebnissen geschehen kann. Je später die Beteiligung im Entwicklungsprozess geschieht, desto schwieriger und weniger wirkungsvoll können Patient*innen Einfluss auf patientenbedarfsorientierte Forschungsprioritäten nehmen. Dabei ist es gerade wegen ihrer detaillierten Einsichten in den Alltag von Betroffenen in Bezug auf Erkrankung und Therapien sowie der Kenntnis über Erwartungen an zukünftige Therapien für alle Seiten hilfreich, Patientenvertreter*innen bereits in den frühen Phasen der Krebsforschung einzubinden, um Studien auf konkrete Patientenbedürfnisse hin neu auszurichten (siehe Abbildung 2).

Daher ist es das Ziel der Nationale Dekade, eine Brücke zwischen Betroffenen und der Krebsforschung zu schlagen, weshalb sie bereits im November 2019 eine erste Umfrage durchgeführt hat – mit dem Ergebnis, dass offenkundig eine Art Kommunikationsbarriere zwischen Patient*innen und den Forschenden besteht: etwa hinsichtlich schwer verständlicher Fragebögen zur Lebensqualität sowie des Wunsches nach besseren Forschungskenntnissen in Patientenvertretungen. Daneben wurden Fragen personeller, finanzieller und zeitlicher Natur genannt, unter anderem auch die einer angemessenen Vergütung von Patientenvertreter*innen für ihre sehr zeitintensive Mitarbeit.

Beteiligung in Abhängigkeit von Erfahrung und Kompetenzen

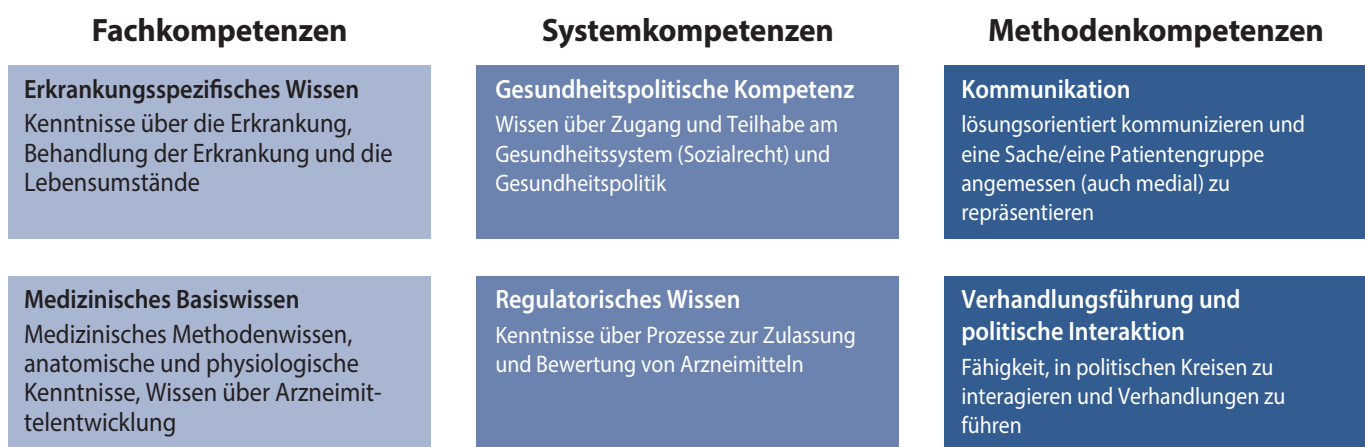
Damit Patient*innen ihre Erfahrungen und Wissen als gut informierte Experten für Patientenbelange in die Zusammenarbeit mit Forschern, Behörden und Ethikkommissionen auf Augenhöhe einbringen können, bedarf es folglich einer entsprechenden Weiterbildung, wie sie beispielsweise die in 18 Ländern aktive gemeinnützige Europäische Patientenakademie EUPATI anbietet. Diese hat neben Leitlinien für die Zusammenarbeit mit Patient*innen in der Arzneimittelforschung sowie in behördlichen Prozessen mit der EUPATI-Toolbox³ eine laienverständliche Online-Wissensdatenbank zur Forschung entwickelt. Daneben bietet die Patientenakademie in neun verschiedenen Sprachen Weiterbildungsmaterial und Schulungen in Form von Präsenzveranstaltungen sowie Webinaren an, etwa zu den grundlegenden Prinzipien der Arzneimittelforschung, aber auch zu Rhetorik und Gesprächsführung oder der Nutzung von Social Media. Das durch die Innovative Medicines Initiative geförderte, paneuropäische Projekt hat bisher rund 240 Patientexpert*innen aus verschiedenen Ländern ausgebildet und verzeichnet rund fünf Millionen Nutzer seiner Internetplattform.

Zudem war die Patientenakademie in einem Pilotprojekt des Paul-Ehrlich-Instituts (PEI) und des Bundesinstituts für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM) zur Beteiligung von Patientensachverständigen in Zulassungsverfahren der Europäischen Arzneimittelagentur involviert und hat in mehreren Verfahren potenzielle Patientensachverständige vorgeschlagen.

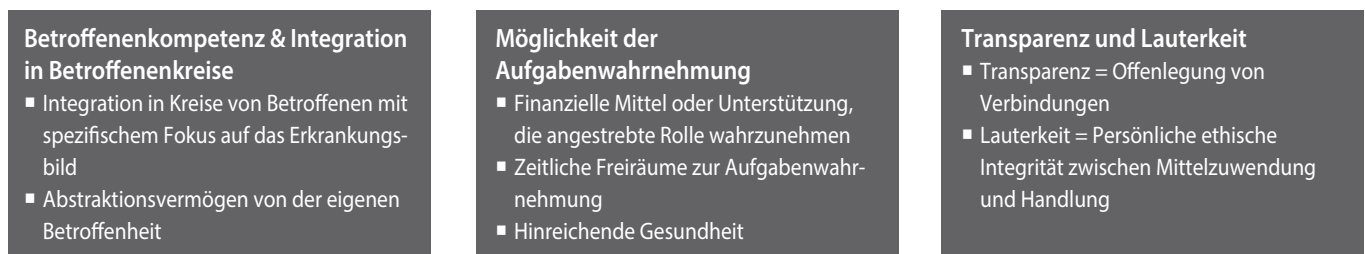
Die Weiterbildungsbereiche von EUPATI:

1. Grundlagenforschung, Arzneimittelentwicklungsplanung
2. Präklinische Entwicklung
3. Klinische Forschung und Studien

Benötigte Kompetenzen in Abhängigkeit von der Art der Beteiligung



Persönliche Rahmenbedingungen für eine effektive Patientenbeteiligung



Quelle: Dierks, Geissler, Schumacher-Wulf, Schmitt (2019, unpubliziert)

Abbildung 3: Je nach Grad ihrer Informiertheit, Kompetenzen und Fachwissen zu ihrer Erkrankung können sich Patienten an verschiedenen Punkten aktiv in die Therapieentwicklung einbringen.

- Regulierungs- und Zulassungsprozesse
 - Arzneimittelsicherheit, Risiko/Nutzen
 - Gesundheitsökonomie und Nutzenbewertung (HTA).
- Wo Patient*innenbeteiligung im Design klinischer Studien konkret ansetzen kann, definiert der Leitfaden von EUPATI⁴; die Intensität, mit der sich Patient*innen einbringen können, hängt dabei von ihren Kompetenzen ab. Aller-

- dings wird der Begriff „Patient*in“ oft unpräzise verwendet und reflektiert die verschiedenen Arten der möglichen Beiträge nicht ausreichend, weshalb je nach Informations- und Repräsentationsgrad sowie Grad und Art ihrer Kompetenzen unterschieden werden kann zwischen
- individuellen Patient*innen und Betreuer*innen: haben persönliche Erfahrung, mit einer Krankheit zu leben

- Patientenführer*innen: haben Einsicht und Erfahrung mit einer größeren Patientenpopulation
- Vertreter*innen von Patientenorganisationen: vertreten die Ansichten einer Patientenorganisation
- Patientenexpert*innen: verfügen über zusätzliches technisches Wissen in Forschung und Entwicklung und/oder in der Arbeit der Behörden.

Je nach Grad ihrer Informiertheit, Kompetenzen und Fachwissen zu ihrer Erkrankung (siehe Abbildung 3) können sich Patient*innen also an verschiedenen Punkten aktiv in die Therapieentwicklung einbringen und beispielsweise eine beratende Funktion einnehmen, als Expert*innen für eine bestimmte Erkrankung herangezogen werden oder als gleichberechtigte Partner*innen bei der Definition des Forschungsbedarfs mitwirken. Etwa zu Beginn beim Festlegen der Forschungsprioritäten, beispielsweise in Form patientenrelevanter Endpunkte, und in Forschungsdesign- und -planung bei der Prüfplanerstellung, von Ein- und Ausschlusskriterien und Patientenprioritäten in Bezug auf Nutzen und Risiko – oder der Wahl der Messinstrumente für Lebensqualität (Quality of Life, QoL) und Patient Reported Outcomes. Letztere sind Daten, die die Bewertung einer Therapiemaßnahme um die subjektive Einschätzung der Patient*innen zu beispielsweise QoL, Fatigue oder Schmerzen ergänzen und in der medizinischen Forschung vermehrt berücksichtigt werden, da sie eine zusätzliche Perspektive der Patient*innen auf die Krankheit oder Behandlung ermöglichen.

Derzeit befinden sich die EMA und die US-Arzneimittelbehörde FDA in Gesprächen mit verschiedenen Akteuren, um Wege zu finden, patientengenerierte Daten und Methoden zur Erhebung zu standardisieren. Um Empfehlungen zur Analyse und Interpretation von PROs in klinischen Studien zu Krebserkrankungen zu entwickeln, hat die Innovative Medicines Initiative zudem das Projekt SISAQOL un-

ter der Leitung der European Organisation for Research and Treatment of Cancer (EORTC) ins Leben gerufen.

Aber auch Patient*innen mit geringerem bis mittlerem Fachwissen können in diesen frühen Phasen tätig werden, etwa in der Forschungsfinanzierung oder der Konzeption von Patienteninformation und Einverständniserklärungen in patientengerechter Sprache. Sind sie Teil einer Ethikkommission, können Patientenvertreter*innen zudem zum kritischen Dialog über ethische Fragestellungen im Studiendesign, Einschluss- und Ausschlusskriterien, Frequenz invasiver Diagnostik, Nutzen-Risiko-Balance für Probanden oder Datenschutz beitragen.

Auf EU-Ebene ist Patientenpartizipation Standard

Auf EU-Ebene werden Arzneimittelzulassung, Datenschutz und Vorgaben zu klinischen Prüfungen weitgehend von der EU-Gesetzgebung bestimmt. Bemerkenswert ist hier, dass Patientenpartizipation in Regulierung und Forschung außerhalb Deutschlands längst Usus ist. So waren und sind Patientenvertreter*innen beispielsweise in Horizon 2020, ein EU-Förderprogramm für Forschung und Innovation, und in die unter diesem Programm laufenden Projekten Innovative Medicines Initiative (IMI), Innovative Medicines Initiative 2 (IMI2) sowie künftig die Innovative Health Initiative (IHI), die voraussichtlich im Herbst dieses Jahres startet, als externe Expert*innen in Beiräten, Gutachtergremien und – wie teilweise in Ausschreibungen gefordert – in Forschungsprojekten eingebunden.

Daneben sind sie aktive Partner*innen in medizinischen Fachgesellschaften, etwa als Vollmitglieder in der European Cancer Organisation, in European Reference Networks, in der European Society for Medical Oncology (ESMO) und ihrer Patient Advocacy Workgroup, dem EHA European Affairs Committee sowie der EHA Patient Advocacy Workgroup. Und auch im Vorstand der EMA und in allen ih-

ren Gremien – oftmals mit Stimmrecht – sowie der Arbeitsgruppe für Patienten und Verbraucher sind sie seit mehr als 15 Jahren vertreten.

Zudem hat die neue EU-Verordnung 536/2014 zu klinischen Studien, die im Januar 2022 in Kraft treten wird, aus Patient*innenperspektive einige wesentliche Veränderungen auf den Weg gebracht: etwa eine Erhöhung der öffentlichen Transparenz von klinischen Prüfungen und den damit zusammenhängenden Daten sowie der Studienergebnisse, und dass nach neuer EU-Verordnung im Prüfplan dargelegt werden muss, ob und wie Patient*innen an der Prüfplannerstellung beteiligt waren. Ebenso enthält die neue Verordnung eine Vorgabe zur Beteiligung von Patient*innen in den nationalen Ethikkommissionen, denen die „Befugnis übertragen wurde, Stellungnahmen für die Zwecke dieser Verordnung unter Berücksichtigung der Standpunkte von Laien, insbesondere Patienten oder Patientenorganisationen, abzugeben“⁵.

Und auch zum hochaktuellen wie komplexen Thema Datenschutz, das in den Bereichen klinische Studien und Gesundheitsversorgung von besonderer Relevanz ist, haben Patientenvertreter*innen auf EU-Ebene beigetragen, beispielsweise in einem Patient*innenbeirat, als Teilnehmer*innen in Fokusgruppen sowie einem Delphi-Projekt zum Thema Datenschutz und -austausch im multidisziplinären, EU-finanzierten Projekt RD Connect (2012–2018), das Partner aus der EU und darüber hinaus zusammenbrachte, um eine integrierte globale Infrastruktur für die Erforschung seltener Krankheiten zu schaffen.

Mit Blick auf die Bundesrepublik Deutschland lassen sich zusammenfassend eine stark etablierte Selbsthilfe und eine gut organisierte Beteiligung in G-BA-Prozessen konstatieren – in der systematischen Beteiligung in Forschung sowie in der forschungsnahen Kompetenzbildung bleiben Patient*innen trotz ihres spezifischen, für Forschungsde-

sign und regulatorische Rahmenbedingen essenziellen Erfahrungswissens jedoch oft außen vor.

Mit der Nationalen Dekade gegen Krebs bietet sich hier nun eine große Möglichkeit zur Veränderung. Auf europäischer und internationaler Ebene hingegen haben Patient*innen seit geraumer Zeit viel Einfluss auf die Forschungsgestaltung und Förderprogramme – aber auch hier sollen Initiativen wie etwa der EU-Krebsplan, die EU-Krebsmission sowie die EU-Trio-Ratspräsidentschaft Patient*innenbeteiligung weiter etablieren und festigen, wie der Dreivorsitz bestehend aus Deutschland, Portugal und Slowenien in einem gemeinsamen Papier betont: „Deutschland und die Trio-Partner werden einen Prozess zur systematischen Einbindung von Patient*innen in die europäische Krebsforschung initiieren [...] und dabei die Bedeutung einer aktiven Patient*innenbeteiligung im gesamten translationalen Prozess von der Forschung bis hin zur Patientenversorgung betonen. [...] Die Trio-Ratspräsidentschaft wird die patientenzentrierte Krebsforschung als Standard in Europa voranbringen.“⁶

Literatur

¹ Detecting Myeloma, ways to shortening an often painful and tedious patient odyssey: results from an international survey. Myeloma Euronet (2009). 314 physicians & nurses, 260 patients & carers, 43 countries.

² Survey with 560 myeloma patients from the Myeloma UK, replicating the pilot of MPE, MPNE and EMA, D. Postmus et al. (2017) *The Oncologist*.

³ <https://toolbox.eupati.eu/?lang=de>

⁴ Warner Kay, See Wolf, Haerry David, Klingmann Ingrid, Hunter Amy, May Matthew. 2018. EUPATI Guidance for Patient Involvement in Medicines Research and Development (R&D); Guidance for Pharmaceutical Industry-Led Medicines R&D. *Frontiers in Medicine*. Volume 5. Figure 1.

⁵ Verordnung (EU) Nr. 536/2014 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. April 2014.

⁶ Trio Presidency of the Council of the European Union – Germany, Portugal and Slovenia Declaration on effective cancer research „Europe: Unite against Cancer“.

Fachgesellschaften im AMNOG-Verfahren – ein „nicht-quantifizierbarer Zusatznutzen“?

Prof. Dr. Bernhard Wörmann | Deutsche Gesellschaft für Hämatologie und Medizinische Onkologie, Charité Universitätsmedizin Berlin, Klinik für Hämatologie, Onkologie und Tumorimmunologie

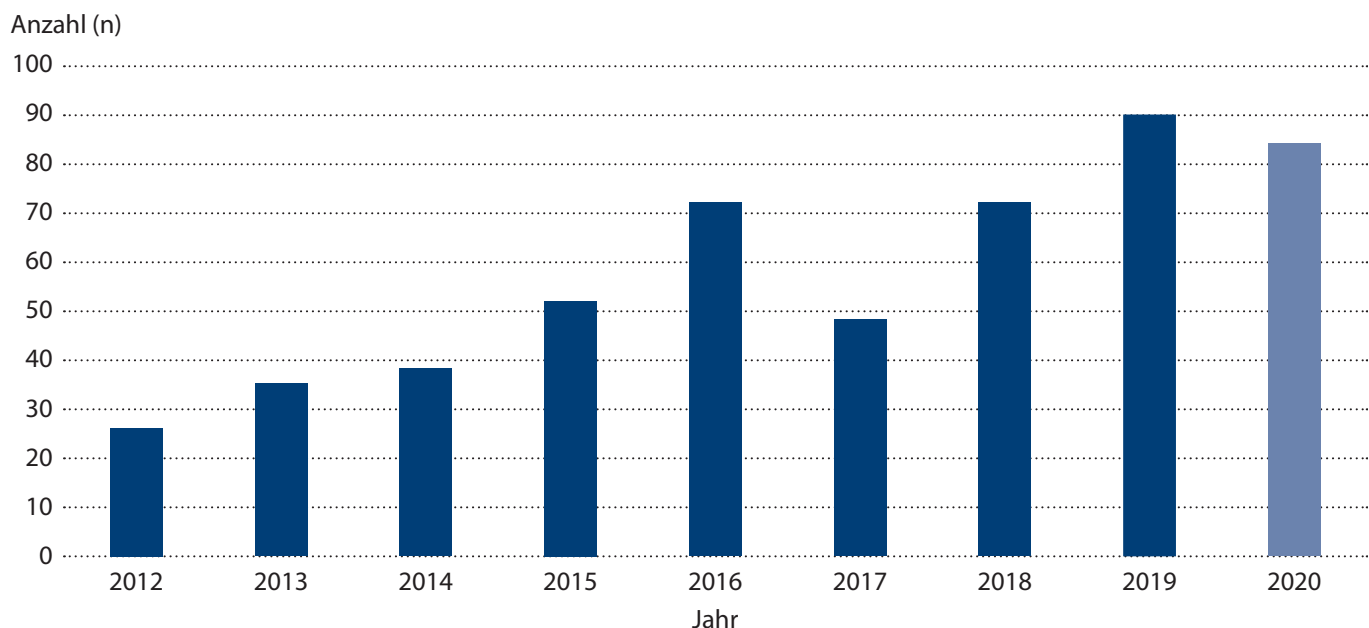
*Die Verfügbarkeit und der Einsatz neuer Arzneimittel in Deutschland werden durch drei regulatorische Prozesse bestimmt: Zulassung durch die European Medicines Agency (EMA), Frühe Nutzenbewertung nach dem AMNOG-Verfahren durch den Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA) und Leitlinien durch die wissenschaftlichen medizinischen Fachgesellschaften. Die Festlegungen und Empfehlungen aus diesen Verfahren sind oft übereinstimmend, können aber auch substantiell differieren. Das erschwert Entscheidungen über den Einsatz eines neuen Arzneimittels in der individuellen Therapiesituation. Die Fachgesellschaften sind an allen drei Prozessen beteiligt und bilden ein wichtiges Verbindungselement. Die seit 2020 umgesetzte, frühe Einbindung der Fachgesellschaften in die Beratung pharmazeutischer Unternehmen durch den G-BA ist ein weiterer Schritt zur Integration der medizinischen Wissenschaft in die Nutzenbewertung von Arzneimitteln und damit in die qualitätsgesicherte Versorgung von Patient*innen.*

Die Flut neuer Arzneimittel z. B. in der Onkologie, ist ein Segen, manchmal aber auch ein Fluch. Segen ist sie vor allem dann, wenn neue Arzneimittel die Prognose einer Erkrankung verbessern, Leiden lindern und/oder weniger Nebenwirkungen als bisherige Therapien haben. „Neu“ ist auch mit Hoffnung verbunden, was viele Patient*innen als einen Wert an sich erleben. Als Fluch erleben wir die Flut neuer Arzneimittel, wenn sie mit großem Aufwand ohne messbare Verbesserung patientenrelevanter Endpunkte vermarktet werden, aber auch wenn die Bewertung neuer Arzneimittel durch Zulassungsbehörden, Kostenträger und Ärzt*innen differieren und viel wertvolle Energie für den individuellen Zugang von Patient*innen investiert werden muss.

Für die frühe Nutzenbewertung neuer Arzneimittel als Basis der Preisbildung in Deutschland ist am 1. Januar 2011 das Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz (AMNOG) in Kraft getreten¹. Ziel war die Installation eines Systems für den geregelten Zugang neuer Arzneimittel in Deutschland unter Berücksichtigung der wirtschaftlichen Ressourcen. Im Gesetzestext von 2010 werden die Fachgesellschaften nicht erwähnt, aber die Durchführung einer mündlichen Anhörung festgelegt. In der Verfahrensordnung des Gemeinsamen Bundesausschusses (G-BA) gehören die Fachgesellschaften zu den Stellungnahmeberechtigten.

In den darauffolgenden Jahren wurden das „lernende“ AMNOG-System in mehreren Gesetzgebungsverfahren angepasst. Dazu gehörten im Jahr 2017 die umfassende Information der verordnenden Ärzte im GKV-Arzneimittelversorgungsstärkungsgesetz (GKV-AMVSG)² sowie 2019 im Gesetz zur Stärkung der Arzneimittelversorgung (GSAV) die frühzeitige Einbindung der Fachgesellschaften in die Beratung von pharmazeutischen Unternehmen durch den G-BA³.

Mit einer Festlegung abgeschlossene Verfahren der Frühen Nutzenbewertung 2011 bis 2020



Quelle: AWMF und DGHO: Frühe Nutzenbewertung neuer Arzneimittel in Deutschland 2011-2020, Preisbildung und mehr. Mai 2021, im Druck.

Abbildung 1: Die Zahl der Bewertungsverfahren ist seit 2011 kontinuierlich gestiegen. Gründe dafür sind nicht nur neue Arzneimittel und/oder neue Indikationen, sondern auch z.B. Neubewertungen von Wirkstoffen mit Orphan-Drug-Status.



Prof. Dr. Bernhard Wörmann ist Arzt für Innere Medizin, Hämatologie und Internistische Onkologie, und hat die Zusatzbezeichnung Palliativmedizin. Seit 2010 ist er Medizinischer Leiter der DGHO Deutsche Gesellschaft für Hämatologie und Medizinische Onkologie, seit 2015

Vorsitzender der Kommission „Nutzenbewertung von Arzneimitteln“ der AWMF. Ärztlich ist er im Ambulanten Gesundheitszentrum der Charité und in der Medizinischen Klinik mit Schwerpunkt Hämatologie, Onkologie und Tumorummunologie am Campus Virchow in Berlin tätig.

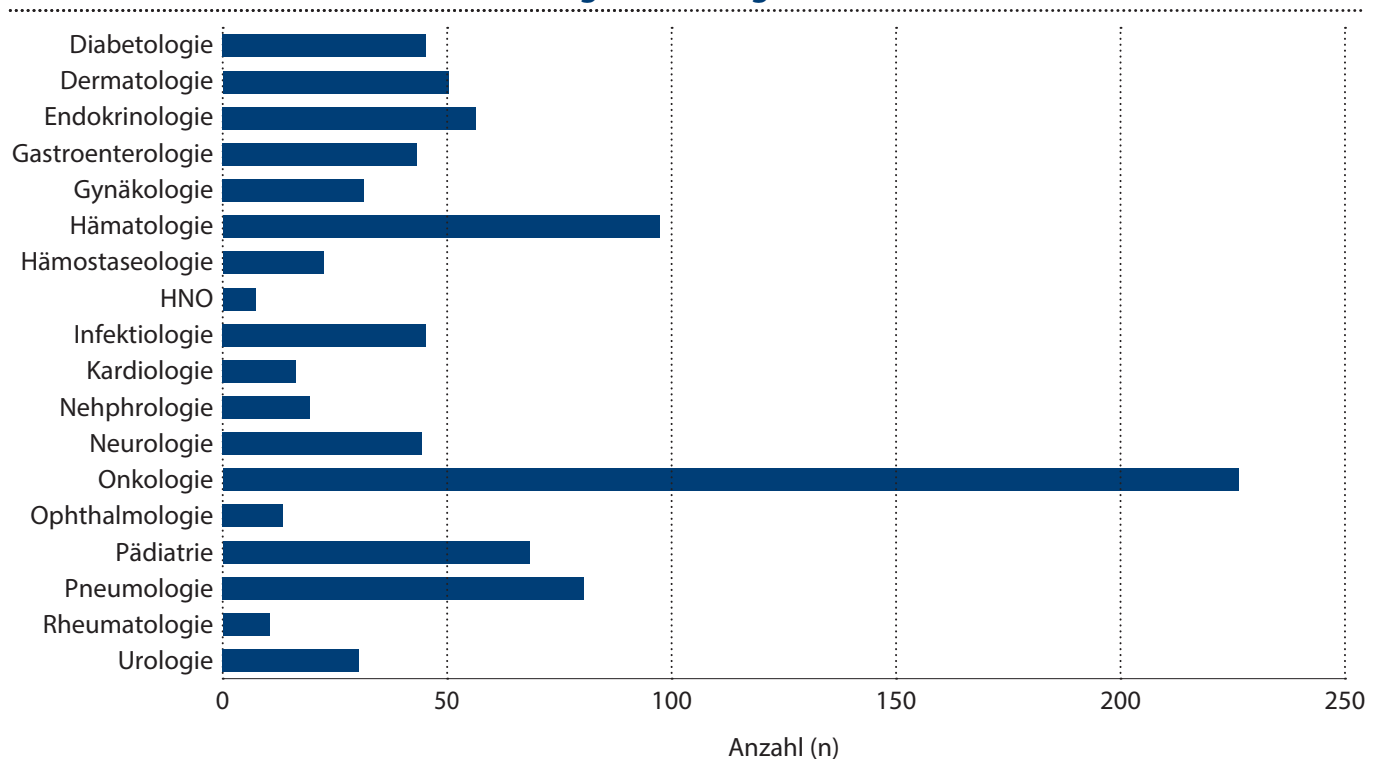
Für die Fachgesellschaften bedeuten die Stellungnahmen eine Verantwortung, aber auch eine Herausforderung.

Beteiligung der Fachgesellschaften am Verfahren der frühen Nutzenbewertung

Die Zahl der Bewertungsverfahren ist seit 2011 kontinuierlich gestiegen, siehe Abbildung 1⁴. Der Anstieg ist vor allem durch neue Arzneimittel und/oder neue Indikationen bedingt. Weitere Gründe sind Neubewertungen nach Ab-

lauf von Befristungen und die Neubewertung von Arzneimitteln mit Orphan-Drug-Status, die die gesetzlich vorgesehene Umsatzgrenze von 50 Millionen Euro überschritten haben. Die Zulassung neuer Arzneimittel ist in den einzelnen Fachgebieten sehr unterschiedlich, siehe Abbildung 2⁴. Die Gesamtzahl der hier angezeigten Verfahren ist höher als die Gesamtzahl der ausgewerteten Verfahren. Das ist dadurch begründet, dass viele Arzneimittel mehr als einem Fachgebiet zugeordnet werden, z. B. der Onkolo-

Verfahren der Frühen Nutzenbewertung nach Fachgebieten 2012 bis 2020



Quelle: AWMF und DGHO: Frühe Nutzenbewertung neuer Arzneimittel in Deutschland 2011-2020, Preisbildung und mehr. Mai 2021, im Druck.

Abbildung 2: Die Zulassung neuer Arzneimittel ist in den einzelnen Fachgebieten sehr unterschiedlich. Oftmals sind Arzneimittel mehr als einem Fachgebiet zugeordnet – wie beispielsweise der Diabetologie und der Endokrinologie.

gie und der Pneumologie bei Arzneimitteln zum Einsatz beim Lungenkarzinom, der Diabetologie und der Endokrinologie bei Diabetespräparaten, oder der Hämostaseologie, der Kardiologie und der Neurologie bei Antikoagulantien zur Prophylaxe oder Therapie vaskulärer Ereignisse.

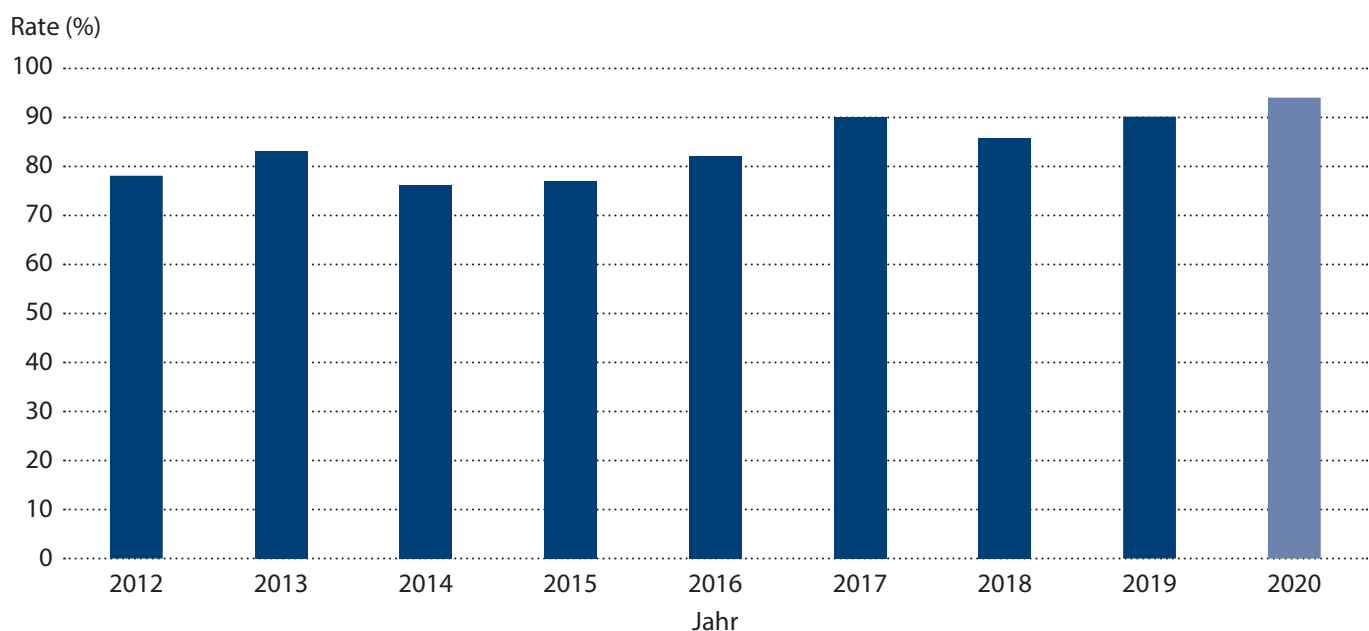
Die Fachgesellschaften werden nach Veröffentlichung der Berichte von IQWiG bzw. G-BA als Stellungnahmeberechtigten in das Verfahren einbezogen. Die Rate der Beteiligung in den vergangenen zehn Jahren ist in Abbildung 3 dargestellt⁴.

Im Jahr 2020 haben sich die Fachgesellschaften an 94 Prozent der Verfahren der frühen Nutzenbewertung betei-

ligt. Damit setzt sich der steigende Trend der Beteiligung auch auf diesem hohen Niveau fort. An zahlreichen Verfahren haben mehrere Fachgesellschaften teilgenommen, siehe Abbildung 4⁴.

In der Mehrzahl der Verfahren ist eine einzige Fachgesellschaft im Verfahren engagiert. Die Beteiligung mehrerer Fachgesellschaften an einem Verfahren ist vor allem durch fachübergreifende Indikationen bedingt, aber auch bei Indikationen für Kinder/Jugendlichen und Erwachsene, bei denen sowohl die pädiatrischen Fachgesellschaften als auch die Fachgesellschaften aus der Erwachsenenmedizin Stellungnahmen abgeben.

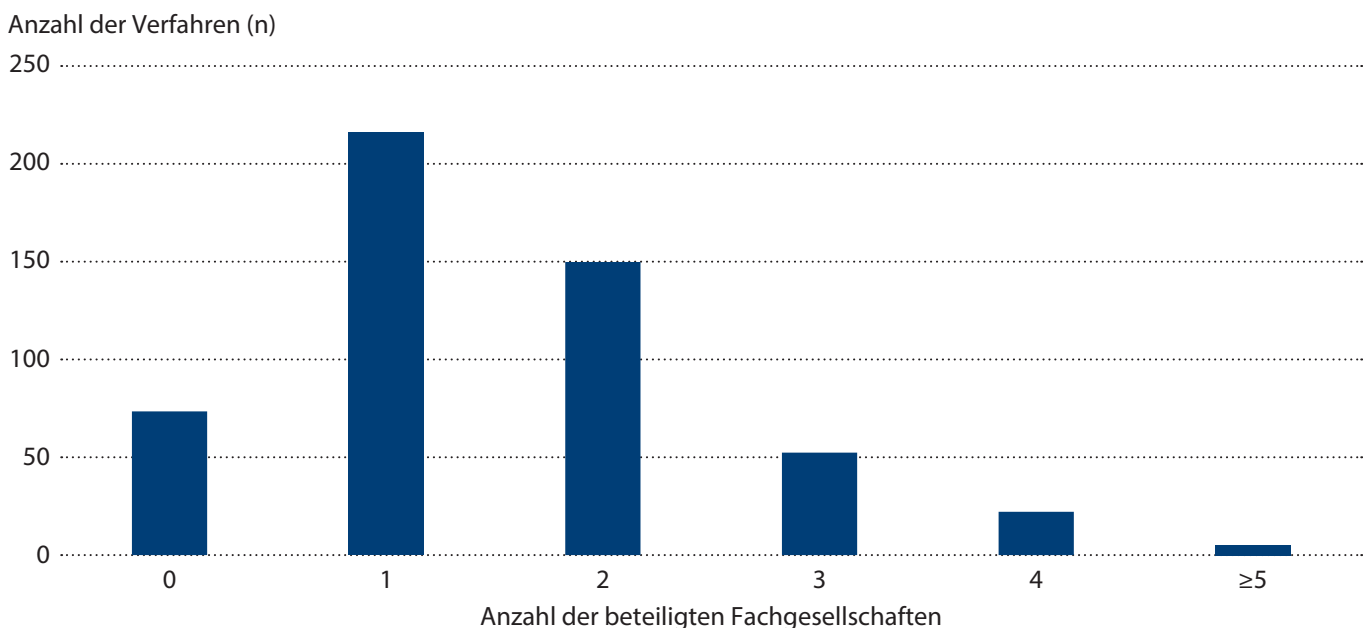
Rate der Beteiligung von Fachgesellschaften an Verfahren der Frühen Nutzenbewertung



Quelle: AWMF und DGHO: Frühe Nutzenbewertung neuer Arzneimittel in Deutschland 2011-2020, Preisbildung und mehr. Mai 2021, im Druck.

Abbildung 3: Im Jahr 2020 waren Fachgesellschaften an 94 Prozent der Verfahren der frühen Nutzenbewertung beteiligt. Seit 2010 zeigt sich eine im Trend steigende Rate der Beteiligung.

Zahl der beteiligten Fachgesellschaften bei der Frühen Nutzenbewertung



Quelle: AWMF und DGHO: Frühe Nutzenbewertung neuer Arzneimittel in Deutschland 2011-2020, Preisbildung und mehr. Mai 2021, im Druck.

Abbildung 4: An zahlreichen Verfahren der frühen Nutzenbewertung ist im Zeitraum von 2011 bis 2020 mehr als eine wissenschaftliche Fachgesellschaft beteiligt gewesen.

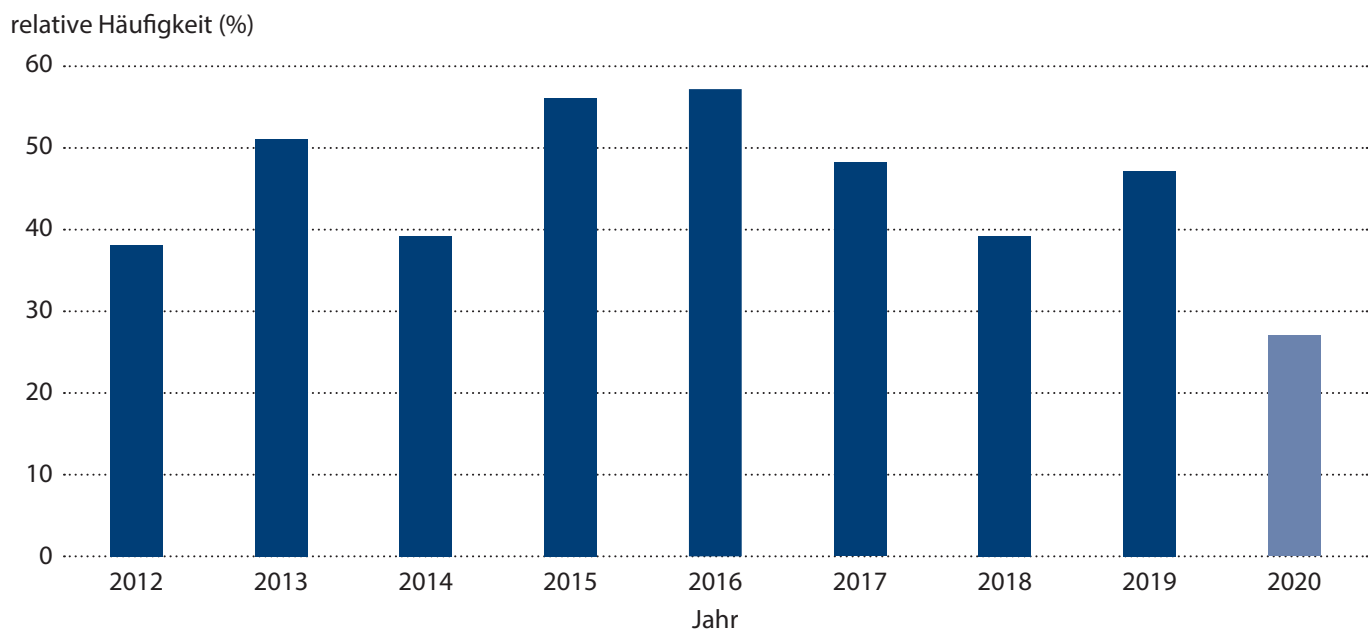
Einfluss der Fachgesellschaften auf das Verfahren

Der direkte Einfluss der Fachgesellschaften auf das Verfahren ist nicht messbar. Eine frühere, oberflächliche Auswertung im Auftrag eines pharmazeutischen Unternehmers hatte festgestellt, dass der G-BA in 51 Prozent der Verfahren mit den Vorschlägen der Fachgesellschaften übereinstimmt⁵. Allerdings wurde hier nicht ausreichend berücksichtigt, dass viele Fachgesellschaften weder zum Gesamtverfahren noch zu den einzelnen Subpopulationen eine dezidierte Bewertung abgeben, sondern ihre Aufgabe umfassender sehen:

- Bewertung des Dossiers
 - Methodik, Anhörung
- Einordnung in Therapiestandard
 - Leitlinien, Versorgung
- Erfahrungen
 - Wirksamkeit, Nebenwirkungen.

Die Fachgesellschaften fokussieren auf inhaltliche Themen. Eine große Herausforderung im AMNOG-Prozess ist die Bildung von Subgruppen/Subpopulationen. Sie ist im Gesetz angelegt¹. Explizit genannte Parameter sind Geschlecht, Alter, Krankheitsschwere bzw. -stadium, Zentrums- und Ländereffekte. Hier differiert der Prozess der Nutzenbewer-

Häufigkeit von Subgruppen/Subpopulationen bei der Frühen Nutzenbewertung



Quelle: AWMF und DGHO: Frühe Nutzenbewertung neuer Arzneimittel in Deutschland 2011-2020, Preisbildung und mehr. Mai 2021, im Druck.

Abbildung 5: Die Zahl der Verfahren, in denen Subgruppen/Subpopulationen als Basis für die zweckmäßige Vergleichstherapie gebildet wurden, hat 2016 mit 57 Prozent ihren Höhepunkt erreicht – und ist zuletzt auf 27 Prozent gesunken.

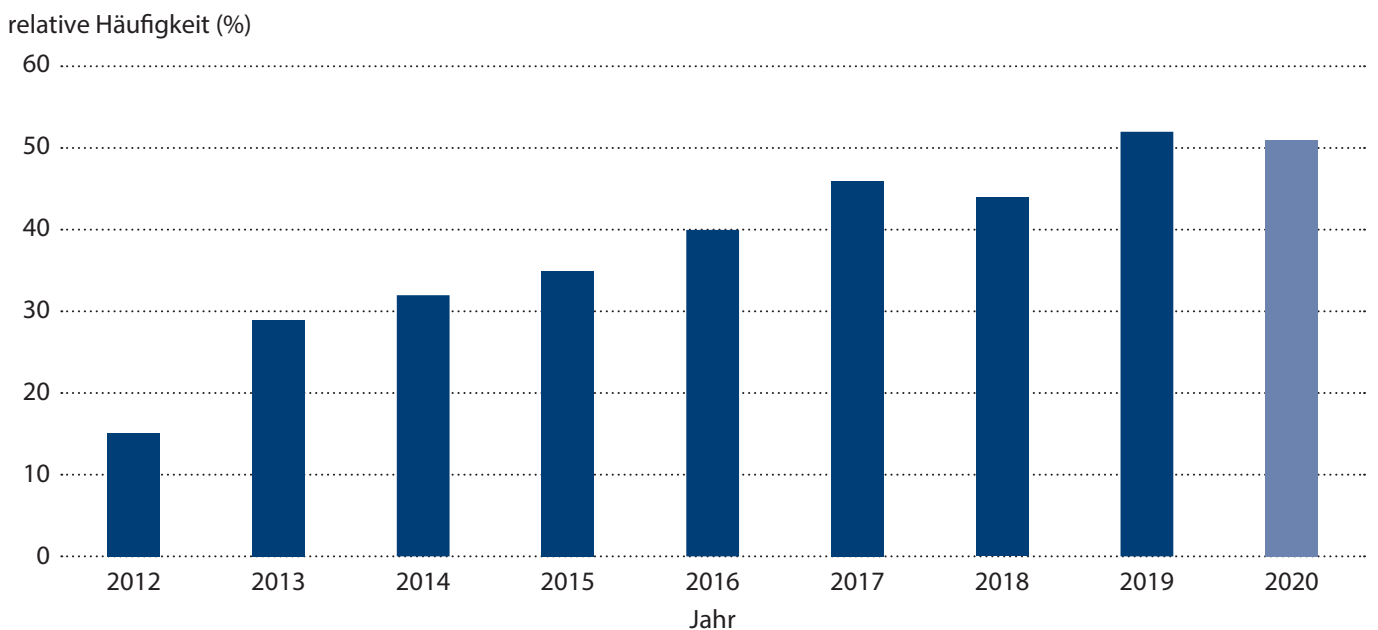
tung in entscheidender Weise vom Zulassungsprozess. Wir verwenden die Begriffe „Subgruppen“ und „Subpopulationen“ gemeinsam, weil beide im Verfahren der frühen Nutzenbewertung verwendet werden. Die Zahl von Verfahren mit Bildung von Subgruppen/Subpopulationen ist in Abbildung 5 dargestellt⁴.

Die Fachgesellschaften hatten sich 2015/2016 intensiv mit dem Thema auseinandergesetzt⁶, es war auch Gegenstand der Klage eines pharmazeutischen Unternehmers⁷. Die Anzahl der Verfahren, in denen Subgruppen / Subpopulationen als Basis für die zweckmäßige Vergleichstherapie und die Bewertungen festgelegt wurden, war im Jahr

2016 auf 57 Prozent gestiegen. Seitdem ist die Rate kontinuierlich gesunken und hat bei den im Jahre 2020 abgeschlossenen Verfahren einen Tiefstand bei 27 Prozent erreicht.

Die Stellungnahmen der Fachgesellschaften, die Diskussion im Rahmen der Anhörung und weitere Faktoren führen inzwischen häufig zu weiterführenden Aufträgen an das IQWiG zur Erstellung eines Addendums oder die zuständige Abteilung des G-BA zur Erstellung eines Amendments. Der Anteil von Addenda/Amendments an der Gesamtzahl der Verfahren ist in Abbildung 6 dargestellt⁴. Die Anzahl von Verfahren mit Addenda/Amendments war

Häufigkeit von Addenda/Amendments bei der Frühen Nutzenbewertung



Quelle: AWMF und DGHO: Frühe Nutzenbewertung neuer Arzneimittel in Deutschland 2011-2020, Preisbildung und mehr. Mai 2021, im Druck.

Abbildung 6: Stellungnahmen von Fachgesellschaften und Anhörungen führen immer häufiger zu zusätzlichen Aufträgen an das IQWiG zur Erstellung eines Addendums oder im G-BA zur Erstellung eines Amendments.

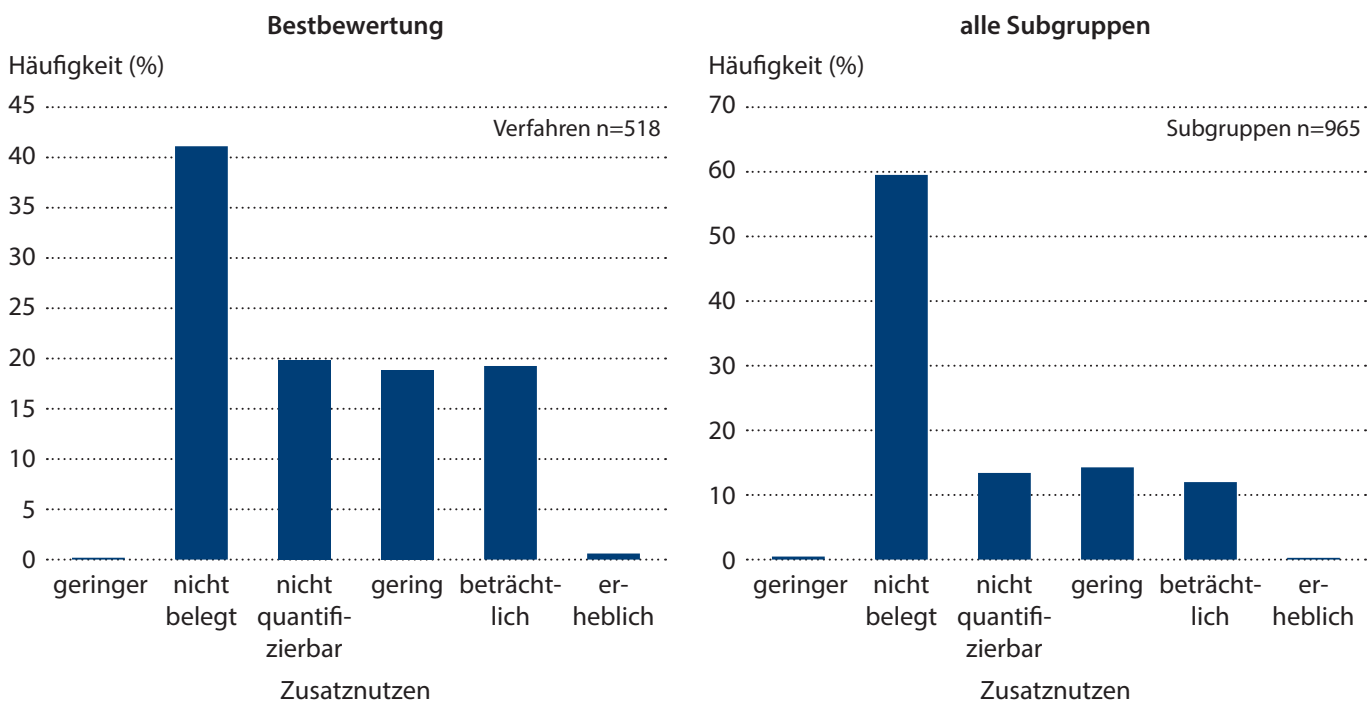
2019 weiter gestiegen, und liegt jetzt bei >50 Prozent. Ein häufiger Anlass für diese Addenda/Amendments seitens der Fachgesellschaften ist Kritik an der Festlegung der zweckmäßigen Vergleichstherapie.

Diskrepanzen zwischen AMNOG, Zulassung und Leitlinien

Die Diskrepanzen zwischen AMNOG und Zulassung lassen sich am besten in der Auswertung der Festlegungen des G-BA illustrieren. Bis Ende 2020 waren 519 AMNOG-Verfahren vollständig durchgeführt und abgeschlossen worden. Unter Berücksichtigung der Bildung von Subgrup-

pen/Subpopulationen ergeben sich 966 Festlegungen. Die Ergebnisse aller Festlegungen 2011 bis 2020 sind in Abbildung 7 grafisch dargestellt⁴. Von den durch die EMA neu zugelassenen, als wirksam und sicher bewerteten Arzneimitteln stellte der G-BA in 41,1 Prozent aller Verfahren die Bewertung „Zusatznutzen nicht belegt“ fest. Bei 19,9 der Verfahren war „nicht quantifizierbar“ die beste Bewertung, gefolgt von 19,3 Prozent mit „beträchtlich“ und 18,9 Prozent mit Zusatznutzen „gering“. In 0,5 Prozent der Verfahren wurde die Kategorie „erheblich“ als beste Bewertung gewählt, bei 0,2 Prozent wurde der Schaden insgesamt höher als der Nutzen bewertet. Bei der Auswertung

Bestbewertung nach Verfahren und Subgruppen bei der Frühen Nutzenbewertung, alle Fachgebiete 2011 bis 2020



Legende: Bestbewertung – hier wird in Verfahren mit Subgruppenbildung die jeweils beste Bewertung ausgewertet, bei Verfahren ohne Subgruppenbildung die jeweils einzige Festlegung; alle Subgruppen/Subpopulationen – hier sind die Festlegungen aller Subgruppen ausgewertet

Quelle: AWMF und DGHO: Frühe Nutzenbewertung neuer Arzneimittel in Deutschland 2011-2020, Preisbildung und mehr. Mai 2021, im Druck.

Abbildung 7: Die Ergebnisse aus 519 AMNOG-Verfahren und 966 Festlegungen zeigen, dass in 41,1 Prozent der Fälle die Bewertung „Zusatznutzen nicht belegt“ lautete. Bei Auswertung der Subgruppen gilt das für 59,6 Prozent der Fälle.

nach Subgruppen/Subpopulationen wurde der Zusatznutzen in 59,6 Prozent aller Verfahren als „nicht belegt“ festgelegt.

Diskrepanzen zwischen früher Nutzenbewertung und Leitlinien sind schwerer erfassbar. Für die Onkologie haben wir einen Vergleich von Bewertungen nach dem AMNOG-

Prozess und nach der Magnitude of Clinical Benefit Scale der European Society for Medical Oncology (ESMO MCBS) vorgenommen. Die ESMO MCBS unterscheidet sich inhaltlich vom Vorgehen des G-BA vor allem dadurch, dass Endpunkte wie progressionsfreies Überleben als patientenrelevant gewertet werden^{8,9}. Formal unterscheidet sie sich un-

Vergleich der Bewertung nach AMNOG und ESMO-MCBS in der Frühen Nutzenbewertung

ESMO MCBS 5	0	0	1	0	8	0
ESMO MCBS 4	0	8	1	9	21	1
ESMO MCBS 3	0	14	0	8	6	0
ESMO MCBS 2	0	2	0	4	1	0
ESMO MCBS 1	0	4	0	2	0	0
	geringer	nicht belegt	nicht quantifiziert	gering	beträchtlich	erheblich

ESMO MCBS: Magnitude of Clinical Benefit Scale der European Society for Medical Oncology

Quelle: Prof. Dr. Wörmann

Abbildung 8: Beim Vergleich von 90 Bewertungen nach dem AMNOG und der ESMO MCBS bei onkologischen Arzneimitteln in nicht-kurativer Intention zeigt sich innerhalb der Kategorisierungen eine große Schwankungsbreite der Ergebnisse.

ter anderem dadurch, dass es fünf Kategorien, keine Kategorie „Zusatznutzen nicht quantifizierbar“ und unterschiedliche Skalen für Arzneimittel in Indikationen mit kurativer und mit nicht-kurativer Intention gibt. In Abbildung 8 ist die Auswertung von 90 konsekutiven onkologischen Verfahren in nicht-kurativer Intention dargestellt, in denen Ergebnisse der frühen Nutzenbewertung und der Bewertung nach der ESMO MCBS vorlagen. Tendenziell stimmen die Ergebnisse von AMNOG- und ESMO MCBS-Verfahren überein, innerhalb der jeweiligen Kategorisierungen zeigen die Ergebnisse allerdings eine große Schwankungs-

breite. Ein Beispiel ist die AMNOG-Kategorisierung „Zusatznutzen gering“, in der die ESMO-Bewertungen von 1-4 reichen.

Frühe Integration von Fachgesellschaften in die Beratungsverfahren

Ein wichtiges Element zur Optimierung der HTA-Prozesse ist die frühe Kommunikation zwischen pharmazeutischen Unternehmen und G-BA. Mit dem Gesetz für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung (GSAV) vom August 2019 wurden jetzt auch die Fachgesellschaften in diese Be-

Frühe Einbindung von Fachgesellschaften in die Beratungen des G-BA (4-12/2020)

Indikationen	N	Stellungnahmen
alle	224	191 (85 %)
onkologisch	104	101 (97 %)
nicht-onkologisch	120	90 (75 %)

Quelle: Prof. Dr. Wörmann

Tabelle 1: Die Beteiligung von Fachgesellschaften liegt, gemessen an den Anfragen des G-BA, bei durchschnittlich 85 Prozent, im Fachgebiet Onkologie bei 97 Prozent.

ratung eingebunden³. Sie wird seit Frühjahr 2020 umgesetzt. In einem Arbeitspapier für die AWMF haben sich die Fachgesellschaften darauf verständigt, jeweils eine gemeinsame Stellungnahme abzugeben. Die konsentiertere Stellungnahme wird von der Geschäftsstelle der AWMF oder einer von ihr beauftragten Fachgesellschaft innerhalb von vier bis fünf Wochen an den G-BA versandt. Eine Zusammenstellung der zwischen April und Dezember 2020 vom G-BA übersandten Anfragen findet sich in Tabelle 1. Der Aufwand seitens der Fachgesellschaften ist hoch. Der initiale Zeitaufwand für eine Stellungnahme wird auf bis zu einem Arbeitstag geschätzt. Angesichts dieses Aufwands ist die Erfüllungsquote von 85 Prozent für alle Fachgebiete sehr hoch, auch weil die Umsetzung dieses Verfahrens direkt in die erste Welle von COVID-19 in Deutschland fiel.

Literatur

¹ Gesetz zur Neuordnung des Arzneimittelmarktes in der gesetzlichen Krankenversicherung (Arzneimittelmarkneuordnungsgesetz – AMNOG), Bundesgesetzblatt Teil I vom 27. 12. 2010. [http://www.bgbl.de/Xaver/start.xav?startbk=Bundesanzeiger_BGBI&bk=Bundesanzeiger_BGBI&start=//\[*\]-@attr_id=%27bgbl110s2262.pdf%27#_Bundesanzeiger_BGBI_%2F%2F*%5B%40attr_id%3D'bgbl110s2262.pdf'%5D__1374326855765](http://www.bgbl.de/Xaver/start.xav?startbk=Bundesanzeiger_BGBI&bk=Bundesanzeiger_BGBI&start=//[*]-@attr_id=%27bgbl110s2262.pdf%27#_Bundesanzeiger_BGBI_%2F%2F*%5B%40attr_id%3D'bgbl110s2262.pdf'%5D__1374326855765).

² Gesetz zur Stärkung der Arzneimittelversorgung in der GKV (GKV-Arzneimittelversorgungsstärkungsgesetz - AMVSG), 2017 <http://dipbt.bundes-tag.de/dip21/brd/2017/0195-17.pdf>.

³ Gesetz für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung, 2019. https://www.bundesgesundheitsministerium.de/fileadmin/Dateien/3_Downloads/Gesetze_und_Verordnungen/GuV/G/GSAV_bgb119_S.1202_150819.pdf.

⁴ AWMF und DGHO: Frühe Nutzenbewertung neuer Arzneimittel in Deutschland 2011-2020, Preisbildung und mehr. Mai 2021, im Druck.

⁵ https://www.iges.com/sites/igesgroup/iges.de/myzms/content/e6666/e13520/e14023/e14025/e14026/attr_objjs14236/IGES_Bericht_Wissenschaft_und_Nutzenbewertung_web_ger.pdf.

⁶ Frühe Nutzenbewertung neuer Arzneimittel in Deutschland - Subgruppen Definition, Analyse und Kriterienkatalog, 2016. https://www.dgho.de/informationen/gesundheitspolitische-schriftenreihe/band-8-fruehe-nutzenbewertung-subgruppen/dgho_schriftenreihe_Bd8-2016_final.pdf.

⁷ LSG Berlin Brandenburg Az.: L 9 KR 72/16 KL vom 28.06.2017.

⁸ Cherny NI, Sullivan R, Dafni U et al.: A standardised, generic, validated approach to stratify the magnitude of clinical benefit that can be anticipated from anti-cancer therapies: the European Society for Medical Oncology Magnitude of Clinical Benefit Scale (ESMO-MCBS). *Ann Oncol* 26:1547-1573, 2015. DOI: 10.1093/annonc/mdv249.

⁹ Cherny NI, Dafni U, Bogaerts J et al.: ESMO-Magnitude of Clinical Benefit Scale version1.1. *Ann Oncol* 28:2340-2366, 2017. DOI: 10.1093/annonc/mdx310.

Allgemeinmedizin und das AMNOG: Eine Standortbestimmung

Prof. Dr. Martin Scherer, Institut und Poliklinik für Allgemeinmedizin UKE Hamburg, Präsident der DEGAM | Prof. Dr. Erika Baum, Schatzmeisterin und Past-Präsidentin der DEGAM

Im AMNOG-Verfahren wird der Nutzen neuer Therapieverfahren bewertet. Dabei ist an mehreren Stellen auch die Einschätzung durch die wissenschaftlichen Fachgesellschaften gefragt. Die folgenden Ausführungen beleuchten hierbei die Rolle der Allgemeinmedizin. Wir legen dar, warum die Einbindung dieses Faches essenziell und ein wichtiges Korrektiv ist, wo es Gemeinsamkeiten und Diskrepanzen gibt und wie dies einzuordnen ist. Wir verweisen insbesondere auf die enge Verbindung zwischen Leitlinien und den Angaben in dem AMNOG-Verfahren. Dabei wird sichtbar, dass die Koordinierungsfunktion der AWMF ausgesprochen sinnvoll ist. Dies gilt sowohl für die Nutzenbewertung als auch für die Leitlinienerstellung – in beiden Bereichen begreifen wir uns als lernende Systeme.

Verfahrensabläufe

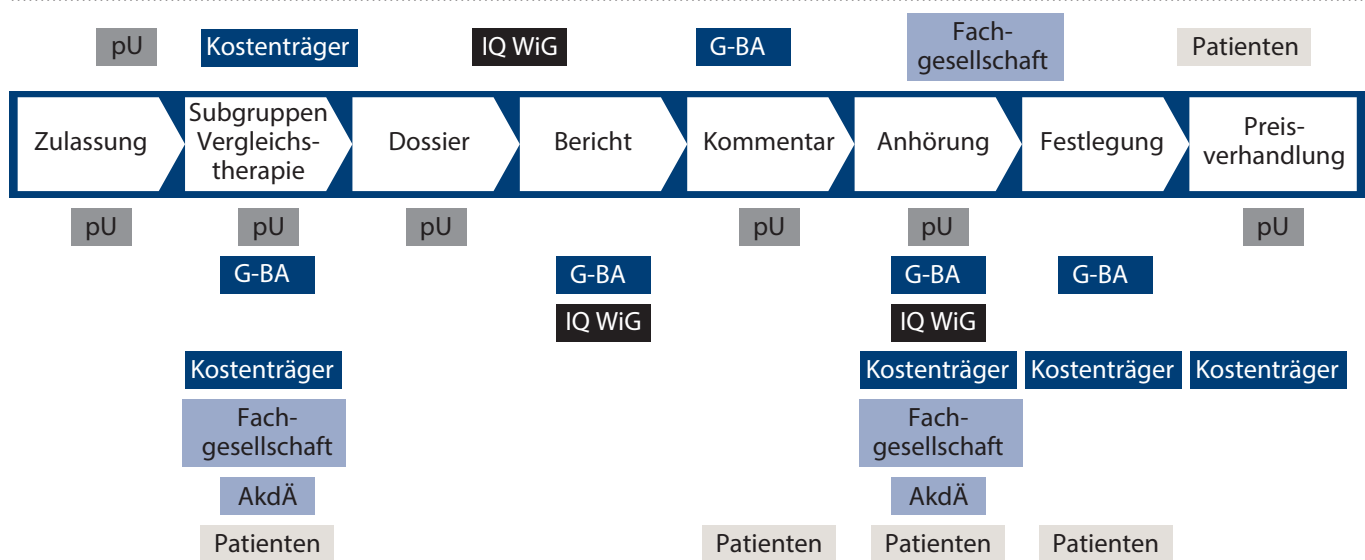
Das AMNOG-Verfahren wurde im letzten Jahr um eine Konsultationsphase erweitert. Hierbei werden in der Phase „Bericht“ die AWMF-Fachgesellschaften um eine kurze Stellungnahme gebeten. Es geht dabei um die Frage des derzeitigen Therapiestandards und der Versorgungsrealität. Da die Allgemeinmedizin Menschen mit den verschiedensten Erkrankungen betreut, wird die DEGAM sehr häufig in die Stellungnahmeverfahren eingebunden (siehe Abbildung 1). Zusätzlich zur DEGAM schreibt die Koordinatorin auf Seiten der AWMF, Frau Erstling, auch die Hauptautor:innen thematisch passender Leitlinien an. Auch hierüber erreichen dann etliche Anfragen Aktivist:innen der DEGAM. In der Kommission „frühe Nutzenbewertung“ übernimmt Prof. Erika Baum, ehemalige DEGAM-Präsidentin und Leiterin der Abteilung Allgemeinmedizin der Universität Marburg, die zudem auf 36-jährige Tätigkeit in einer ländlichen Hausarztpraxis zurückblickt, die Koordinationsfunktion für die DEGAM. Dabei wird sie unterstützt durch Dr. Felix Holzinger aus dem Institut für Allgemeinmedizin an der Charité Berlin.

Da eine gemeinsame Stellungnahme aller AWMF-Fachgesellschaften erwartet wird, gibt es die Herausforderung, dass hier innerhalb weniger Wochen teilweise unterschiedliche Bewertungen und Sichtweisen miteinander verknüpft werden müssen.

Sonderstellung der Allgemeinmedizin

Es ist kein Zufall, dass die DEGAM immer wieder Diagnose- und Therapieverfahren anders bewertet als die anderen Fachgesellschaften. Die Allgemeinmedizin fokussiert auf den ganzen Menschen und auch auf die Frage der Umsetzbarkeit unter den gegebenen Bedingungen. Dabei spielt für uns der Gesamtnutzen für unsere Patient:innen die ent-

Ablauf des AMNOG-Verfahrens im Überblick



Quelle: Prof. Wörmann, AWMF

Abbildung 1: Das enge Zeitraster des AMNOG-Verfahrens macht eine Stellungnahme binnen weniger Wochen nötig.



Professor Dr. Martin Scherer hat von 1993 bis 1999 Humanmedizin studiert. 2004 erlangte er den Facharzt für Allgemeinmedizin. 2004 bis 2009 wissenschaftlicher Mitarbeiter und später Oberarzt an der Abteilung Allgemeinmedizin in Göttingen. 2009 Berufung auf die W2-Professur ‚Versorgungsforschung und ihre Methoden‘ an der Universität Lübeck. Seit 2012 Direktor des Instituts und Poliklinik für Allgemeinmedizin am UKE. Seit 2019 Präsident der DEGAM.



Professor Dr. Erika Baum studierte Medizin in Gießen. Sie ist Fachärztin für Allgemeinmedizin und war als wissenschaftliche Mitarbeiterin in der Professur für Allgemeinmedizin in Gießen tätig. Seit 1990 Professur für Allgemeinmedizin an der Universität Marburg und parallel dazu Tätigkeit in einer Allgemeinarztpraxis in Biebertal bei Gießen. Ab 2010 Vizepräsidentin und von 2016 bis 2019 Präsidentin der DEGAM. Seit 2019 Schatzmeisterin der DEGAM.

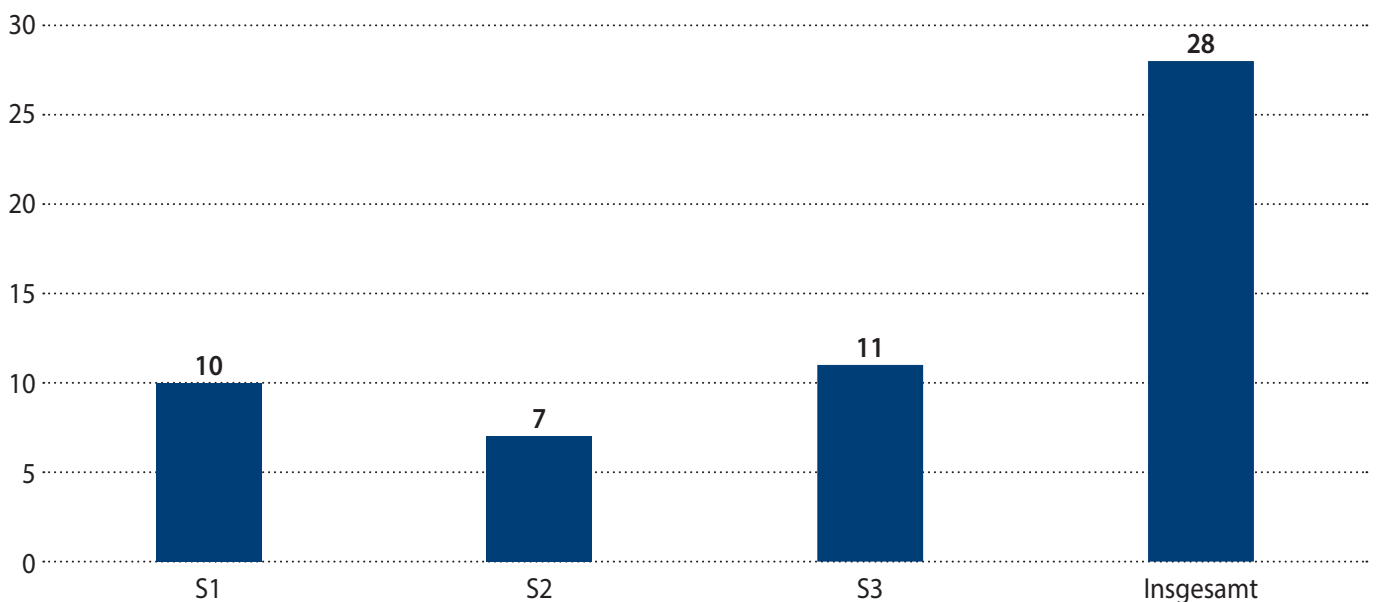
scheidende Rolle: Wie wirkt sich das Verfahren auf die Mortalität – und eben nicht nur auf die krankheitsspezifische Mortalität, denn wir müssen immer konkurrierende Todesursachen mit ins Kalkül ziehen –, die Morbidität im Sinne einer Krankheitslast und insbesondere die Lebensqualität aus. Aber für uns spielen auch Opportunitätskosten eine große Rolle: Wir können jeden Euro nur einmal ausgeben und jede Minute unserer Arbeitszeit nur einmal vergeben. Daher stellt sich die Frage der Verdrängung und damit der Kosten-Nutzen-Relation auch im Vergleich zu anderen Erkrankungen und den Belastungen des Gesamtsystems¹.

Traditionell achtet die DEGAM sehr auf ihre Unabhängigkeit von der Pharmaindustrie und Medizinprodukteherstel-

lern. Dies haben wir mit der Arzneimittelkommission der Deutschen Ärzteschaft (AKdÄ) gemeinsam. Im Gegensatz zu den meisten anderen Fachgesellschaften in Deutschland verzichten wir auf jegliches Sponsoring durch diese Gruppen – sowohl als Gesellschaft als auch in unserer Fachzeitschrift und unseren Kongressen. Auch unsere Leitlinienautor:innen und Delegierten bei externen Leitlinien sind in aller Regel frei von solchen potenziellen Interessenkonflikten. Da diese bei der Bewertung von Therapie- und Diagnoseverfahren eine erhebliche Rolle spielen², ist es kein Zufall, dass wiederholt z.B. bei nationalen Versorgungsleitlinien DEGAM und AKdÄ in gleichem Sinne und kontrovers zu den anderen Fachgesellschaften votiert ha-

Zahl und Typ der von der DEGAM bis September 2020 entwickelten Leitlinien

Stand: September 2020



Quelle: DEGAM

Abbildung 2: Die DEGAM hat bis Herbst 2020 insgesamt 28 Leitlinien entwickelt. Darunter sind elf S3-Leitlinien.

ben. Zu wenig wird nach Auffassung der DEGAM bei der Leitlinienarbeit insgesamt auch auf den Bias durch die zugrundeliegenden Publikationen infolge von potenziellen Interessenkonflikten bei deren Autor:innen geachtet³.

Die DEGAM verwendet viel Mühe, hochwertige und vertrauenswürdige sowie in der Hausarztpraxis gut anwendbare Leitlinien zu verfassen. Sie sind einschließlich ihrer Zusatzmaterialien wie Kurzfassungen und Umsetzungstools unter <https://www.degam.de/degam-leitlinien-379.html> abrufbar. Daneben sind wir bei Leitlinien zahlreicher anderer Fachgesellschaften sowie im Programm der nationalen Versorgungsleitlinien beteiligt: <https://www.degam.de/nvls3-ii-anderer-fg.html>. Leider muss die DEGAM aus Gründen der limitierten personellen und finanziellen Ressourcen etliche Anfragen weiterer Fachgesellschaften abschlägig beantworten.

Umsetzung im AMNOG-Verfahren

Diese grundsätzlichen Sichtweisen und Probleme finden sich dann auch bei der Abfassung der gemeinsamen Stellungnahmen. So war die Konsentierung bei der Anfrage 2021-B-059_AWG2 – Prävention von SARS-CoV-2-Infektionen bzw. COVID-19-Erkrankungen völlig unproblematisch. Wir teilten gemeinsam mit den Vertretern anderer Fachgesellschaften (Deutsche Gesellschaft für Internistische Intensiv- und Notfallmedizin sowie Deutsche Gesellschaft für Pneumologie und Beatmungsmedizin) die Einschätzung einer unzureichenden Evidenzbasis und zu den viel diskutierten Optionen Antibiotika, Hydroxychlorquin, monoklonale Antikörper und Vitamin D. Bezüglich der Impfungen haben wir auf die STIKO-Empfehlungen verwiesen. Gerade in diesem Punkt sind die Erkenntnisse so volatil, dass man nach unserer übereinstimmenden Einschätzung immer nach dem aktuellen und bei dieser öffentlichen Institution publizierten Stand verweisen sollte.

Dagegen gab es einen Dissens bei der Einschätzung des Stellenwertes von direkten oralen Antikoagulantien (DOAK) versus Vitamin K Antagonisten bei Vorhofflimmern. Während die anderen Fachgesellschaften auf internationale Leitlinien und globale Ergebnisse von randomisierten Studien verwiesen, war der DEGAM wichtig, dass die Einschätzung der AKdÄ (einsehbar unter <https://www.akdae.de/Arzneimitteltherapie/LF/OAKVHF/index.html>) sowie die unter Federführung der DEGAM erstellte S3-Leitlinie Schlaganfall angemessen dargestellt werden. Insbesondere zeigt die genauere Analyse der Daten, dass die in Deutschland übliche Phenprocoumon-Therapie (an Stelle des sonst fast ausschließlich verwendeten Warfarin) und die hier erreichte Einstellungsqualität keinen systematischen Nachteil gegenüber den DOAK erkennen lassen.

Auch unser Dauerstreit bezüglich der Bewertung einer lipidsenkenden Therapie hat sich wie erwartet in diesen Stellungnahmeverfahren widerspiegelt. Anfangs kam es sogar zu getrennten Stellungnahmen, später dann zur Darstellung der unterschiedlichen Sichtweisen, in einem Fall hat sich die DEGAM explizit von der abgegebenen Stellungnahme distanziert, weil sie von der federführenden Fachgesellschaft zu spät einbezogen wurde. Hier sind wir sehr enttäuscht, dass bei den Kommentaren anderer Fachgesellschaften immer wieder unsere national konsentierten Nationalen Versorgungsleitlinien (NVL), die auch unter Mitwirkung der AWMF auf höchstem Niveau erstellt und letztlich durch die deutsche Ärzteschaft finanziert sind, überhaupt nicht zitiert werden, sondern stattdessen Leitlinien von Fachgesellschaften wie der European Society of Cardiology (ESC), die diesen Standard bei weitem nicht erreichen⁴.

Bei den Antidementiva verwarren wir uns gegen die Behauptung, dass in der Allgemeinmedizin substandardgemäß therapiert würde. Wir verwiesen stattdessen auf

das Sondervotum der DEGAM in der entsprechenden nationalen Leitlinie, auf die Vorgaben der deutschen Arzneimittelrichtlinie zu diesen Therapeutika⁵, die der federführenden Fachgesellschaft offensichtlich überhaupt nicht präsent waren, sowie die neue Entwicklung in Frankreich, wo die Antidementiva wegen ungenügender Wirksamkeit aus der Erstattungsfähigkeit herausgenommen wurden⁶.

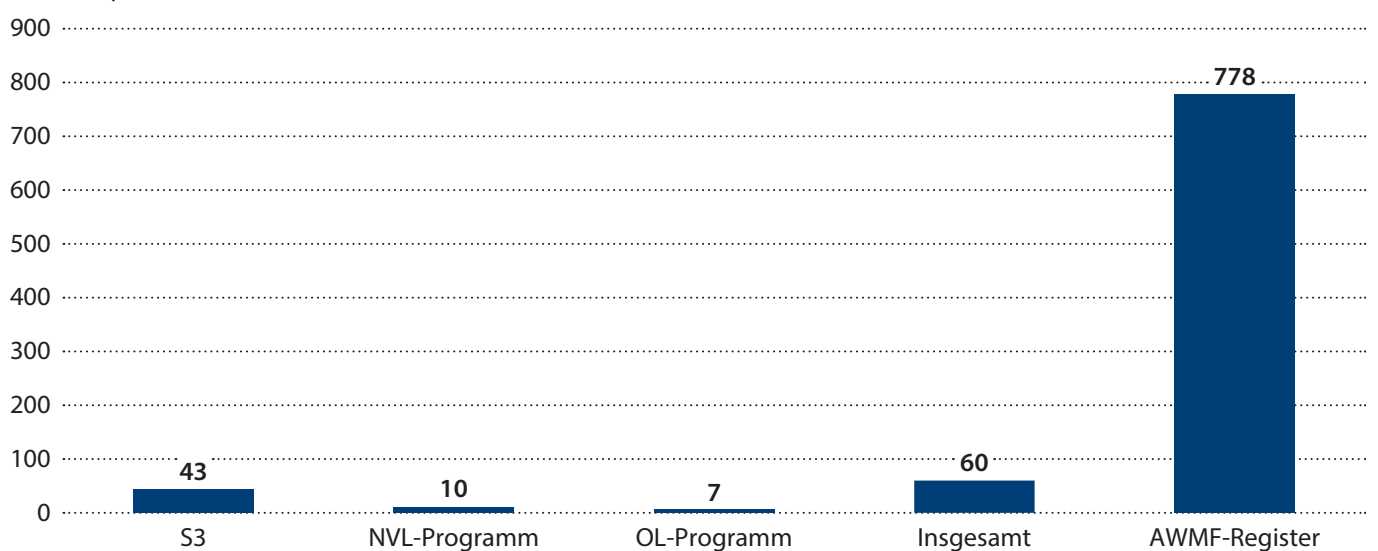
Diese unterschiedlichen Sichtweisen und Darstellungen sind für uns kein Beinbruch, sondern dienen der Transparenz. Wir haben unterschiedliche Versorgungsbereiche, unterschiedliche Vortestwahrscheinlichkeiten, unterschiedliche positive oder negative prädiktive Werte aufgrund un-

terschiedlicher Prävalenzen. Wir haben auch verschiedene Wahrnehmungen bezogen auf die Bedeutung von Interventionen und was letztlich wirklich vordringlich und realistisch umsetzbar ist.

Deshalb ist es so wichtig, dass die Allgemeinmedizin gehört wird und innerhalb der AWMF eine wichtige Rolle spielt. Im Gegensatz zu vielen anderen Fachgesellschaften gliedern wir uns nicht in weitere Subgruppen mit eigener Vertretung innerhalb der AWMF auf. Wir sind dankbar, dass bei dem Stellungnahmeverfahren wie auch der Leitlinienarbeit diese Sonderrolle der Allgemeinmedizin vertreten durch die DEGAM berücksichtigt wird.

Übersicht über die Mitarbeit der DEGAM an Leitlinien

Stand: September 2020



NVL: Nationale Versorgungsleitlinien; OL: Leitlinienprogramm Onkologie

Quelle: DEGAM

Abbildung 3: Die DEGAM hat bis Herbst 2020 an insgesamt 60 Leitlinien mitgewirkt. Darunter waren 43 S3-Leitlinien, zehn Nationale Versorgungsleitlinien und sieben aus dem Leitlinienprogramm Onkologie.

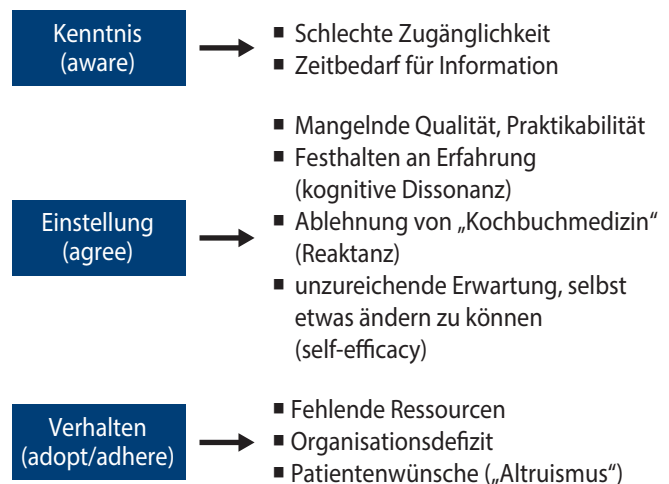
Hinweise zur Leitlinienerarbeitung

Zum Schluss noch etwas zur Leitlinienarbeit der DEGAM. Hier stehen wir vor der Herausforderung, wissenschaftliche Expertise mit der Praxisrealität zusammen zu bringen. Angesichts des aufwändigen Entwicklungsprozesses ab S2-Niveau ist es für uns sehr schwer, geeignete Personen zu finden, die bereit und in der Lage sind, die in aller Regel ehrenamtliche Arbeit dafür zu leisten. Nur in wenigen Fällen gibt es hier zusätzliche Unterstützung und Finanzierungsquellen. Wir hoffen, dass sich diesbezüglich die Situation mit der Zusage durch den Innovationsfonds, die Leitlinienarbeit zu fördern, bessert. Ein spezielles Programm für den Bereich der Allgemeinmedizin wäre sehr hilfreich. Aber auch bei der Implementierung von Leitlinien besteht noch erheblicher Nachholbedarf (siehe Abbildung 4).

Was wir immer wieder kommunizieren müssen: Leitlinien sind kein Lehrbuch, es ist keine Kochbuchmedizin. Aber da an der Leitlinien-Implementation auch im Sinne der Verhaltensänderung bei Ärztinnen, Ärzten und Patient:innen zu arbeiten – wir verfassen ja auch Patienteninformationen – ist nicht einfach. Wir haben zudem verschiedene Tools: eine Langversion, eine Kurzversion, teilweise auch Umsetzungshilfen für Medizinische Fachangestellte und weitere ergänzende Materialien für die Praxen wie Anamnesebögen. Und gerade jetzt bei COVID-19 brauchen wir angesichts der sich rasch ändernden Erkenntnislage eine Living-Guideline mit einer Patientenanleitung und Module für verschiedene einzelne Dinge wie Probenentnahme, Selbsttestung oder häusliche Isolierung.

Die Leitlinien helfen auch beim Transfer von Evidenz über die entsprechenden Empfehlungen in die Praxis. Sie müssen gut gemacht sein. Dazu gibt es die DELBI-Kriterien (Deutsches Instrument zur methodischen Leitlinien-Bewertung), die AGREE-Kriterien⁷ (Appraisal of Guidelines of Research & Evaluation). Sie müssen sich natürlich immer mes-

Hindernisse bei der Implementierung von Leitlinien



Quelle: AWMF

Abbildung 4: Es gibt mehrere Hindernisse für die Leitlinien-Implementation im Sinne der Verhaltensänderung.

sen lassen an den Auswirkungen auf die Versorgung. Bei ihrer Erstellung spielen die Versorgungsprobleme auch immer eine Rolle. Wir schreiben kein Buch über Demenz oder über Schlaganfall oder eine Enzyklopädie. Sondern bei der Leitlinie müssen wir uns natürlich auch immer an dem orientieren, was ein aktuelles Versorgungsproblem ist. Dabei verstehen wir uns als lernendes System. Im Grunde genommen sind die Zyklen vom Versorgungsproblem bis zur Implementation einer qualitätsverbessernden Maßnahme lernende Systeme, die von iterativen Feedback-Schleifen angetrieben werden.

Und auch die Leitlinienentwicklung hat mit immer wiederkehrenden Feedback-Schleifen zu tun. Eine empfindliche Sollbruchstelle ist die Sicherstellung der Kontinuität

auf Expertenebene. Das alles spielt sich im ehrenamtlichen Bereich ab, den man nicht überlasten darf. Oft ist weniger mehr. Daher bemühen wir uns in den vielfältigen Stellungnahmeverfahren auch außerhalb des AMNOG, uns kurz zu fassen und die Dinge auf den Punkt zu bringen. Durch knappe Kernbotschaften werden wir in der Grundversorgung wahrgenommen und können tatsächlich Verhalten verändern und eine immer besser werdende medizinische Versorgung in unserem Land erreichen.

Literatur

¹ https://innovationsfonds.g-ba.de/downloads/media/95/InnoFonds_ExpB_methodische-Ausgestaltung-Antraege.pdf besucht am 11.5.2021.

² Lundh A, Lexchin J, Mintzes B, Schroll JB, Bero L: Industry sponsorship and research outcome. *Cochrane Database Syst Rev* 2017 Feb 16;2:MR000033. doi: 10.1002/14651858.MR000033.pub3.

³ Ahn R, Woodbridge A, Abraham A, Saba S, Korenstein D, Madden E, Boscardin WJ, Keyhani S: Financial ties of principal investigators and randomized controlled trial outcomes: cross sectional study *BMJ* 2017; 356 doi: <https://doi.org/10.1136/bmj.i6770>.

⁴ <https://www.der-arzneimittelbrief.de/de/Artikel.aspx?J=2019&S=73> letzter Absatz besucht am 11.5.2021.

⁵ Arzneimittelrichtlinie Anlage III: https://www.g-ba.de/downloads/83-691-578/AM-RL-III-Verordnungseinschr%C3%A4nkungen_2020-02-11.pdf Punkt 10 Seite 10, besucht am 3.2.2021.

⁶ [afp/aerzteblatt.de](https://www.aerzteblatt.de) 1. Juni 2018 <https://www.aerzteblatt.de/nachrichten/95580/Alzheimer-Arzneimittelkosten-werden-in-Frankreich-nicht-mehr-erstattet> (letzter Zugriff: 02.02.2021).

⁷ <https://www.awmf.org/leitlinien/awmf-regelwerk.html>.

Erfahrungen der Psychiatrie/Neurologie mit der frühen Nutzenbewertung

Prof. Dr. Peter Falkai, Dorothée Streb M.A., PD Dr. Cornelius Schüle | Klinik für Psychiatrie und Psychotherapie, Klinikum der Universität München

Psychische Erkrankungen sind häufig und werden zu selten behandelt. Die funktionelle Remissionsrate ist niedrig (15 bis 50 Prozent), die Lebenszeit verkürzt (3-10 Jahre). Neue pharmakologische Ansätze sind zu selten. Das AMNOG fordert einen Zusatznutzen, wobei die Wahl einer adäquaten Vergleichstherapie trotz vorhandener Leitlinien häufig schwierig zu definieren ist. Neue Therapieansätze müssen potenzielle Subgruppen und relevante Endpunkte in den Fokus nehmen. Mechanismusbasierte Therapieansätze bzw. (Bio)-Marker geleitete Studien sind die Zukunft, die auf den aktuellen Bedarfen basieren müssen.

1 Psychische Erkrankungen – Prävalenz, Behandlungsquote, Outcome, Kosten

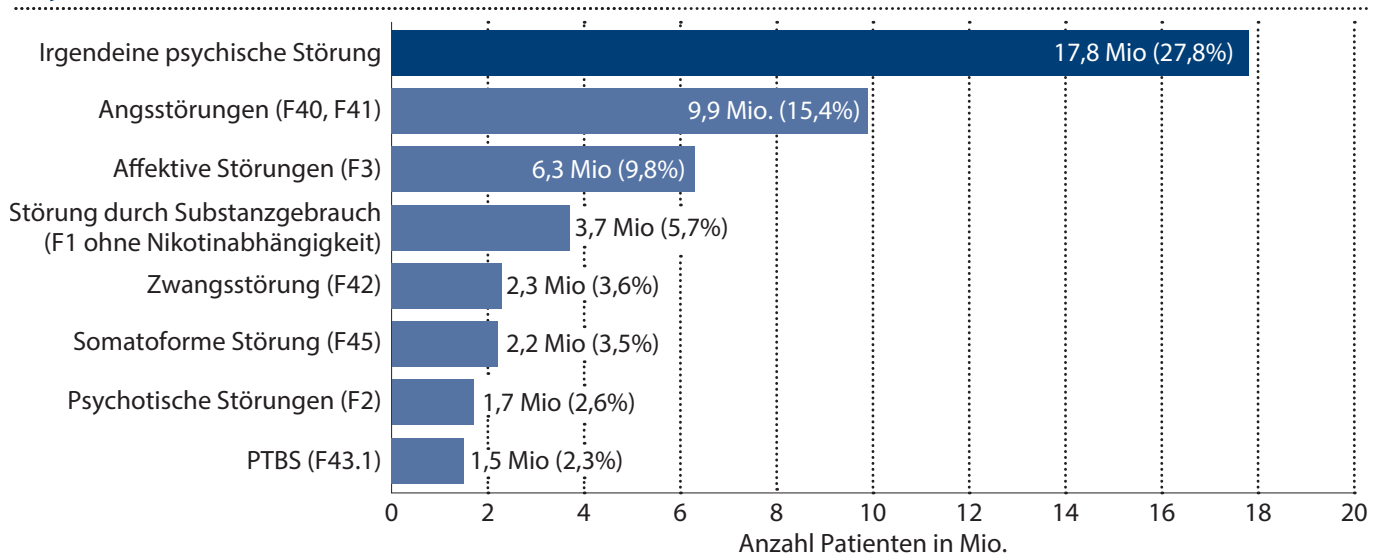
In Deutschland leiden 27,8 Prozent (17,8 Millionen Einwohner) an einer psychischen Erkrankung (Abbildung 1) und davon 9,8 Prozent (6,3 Millionen) an einer Depression¹.

Diese Erkrankungsgruppe gehört nach den Angststörungen zur Zweithäufigsten und ist durch Krankheitsepisoden geprägt, in welchen sich Stimmung und Antrieb mindestens 14 Tage lang deutlich unter das vorher bekannte Niveau verschlechtern. In der Regel leiden die Patienten Monate bis jahrelang unter einer Depression, bevor diese erkannt und in nur 32,9 Prozent der Fälle behandelt wird. Die Behandlungsoptionen sind gut und reichen von einer reinen psychotherapeutischen Behandlungsempfehlung bei einer leichtgradigen Episode bis hin zu einer kombinierten Behandlung aus Pharmako- und Psychotherapie bei einer schwergradigen Krankheitsepisode².

Etwa 50 Prozent der Behandelten sprechen sehr gut auf die evidenzbasierten Behandlungsoptionen an und können ohne Probleme wieder ein Leben ohne wesentliche Beeinträchtigung führen. Die andere Hälfte der Betroffenen lebt mit krankheitsbedingten Einschränkungen gut, ein Teil der Patienten entwickelt jedoch chronische Verlaufsformen. Diese sind gekennzeichnet durch relevante Konzentrationsstörungen sowie starke Beeinträchtigungen der Vitalität und Stimmungslage, die nicht auf die gängigen psycho- oder pharmakotherapeutischen Behandlungsoptionen ansprechen, und mit deutlichen Einschränkungen im beruflichen wie auch privaten Leben verbunden sind.

Leider haben neue Behandlungsoptionen wie die Gabe von Esketamin oder der Einsatz Nicht-Invasiver Hirnstimulation (NIBS) bisher noch wenig daran geändert. Depressionen gehören derzeit zu den Haupttreibern der steigenden

Psychisch erkrankte Menschen in Deutschland

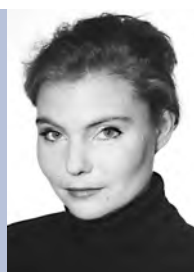


Quelle: Deutsche Psychotherapeuten Vereinigung e.V. (2020): Report Psychotherapie 2020.

Abbildung 1: Fast 28 Prozent der Menschen in Deutschland haben eine psychische Erkrankung, davon weisen fast zehn Millionen eine Angststörung auf. Rund 6,3 Millionen Menschen leiden an einer Depression.



Prof. Dr. Peter Falkai ist seit 2012 Lehrstuhlinhaber der Klinik für Psychiatrie und Psychotherapie am Klinikum der LMU München. Präsident der Deutschen Gesellschaft für Psychiatrie, Psychotherapie und Nervenheilkunde von 2011 bis 2021, Mitglied der Leopoldina Nationale Akademie d. Wissenschaften.

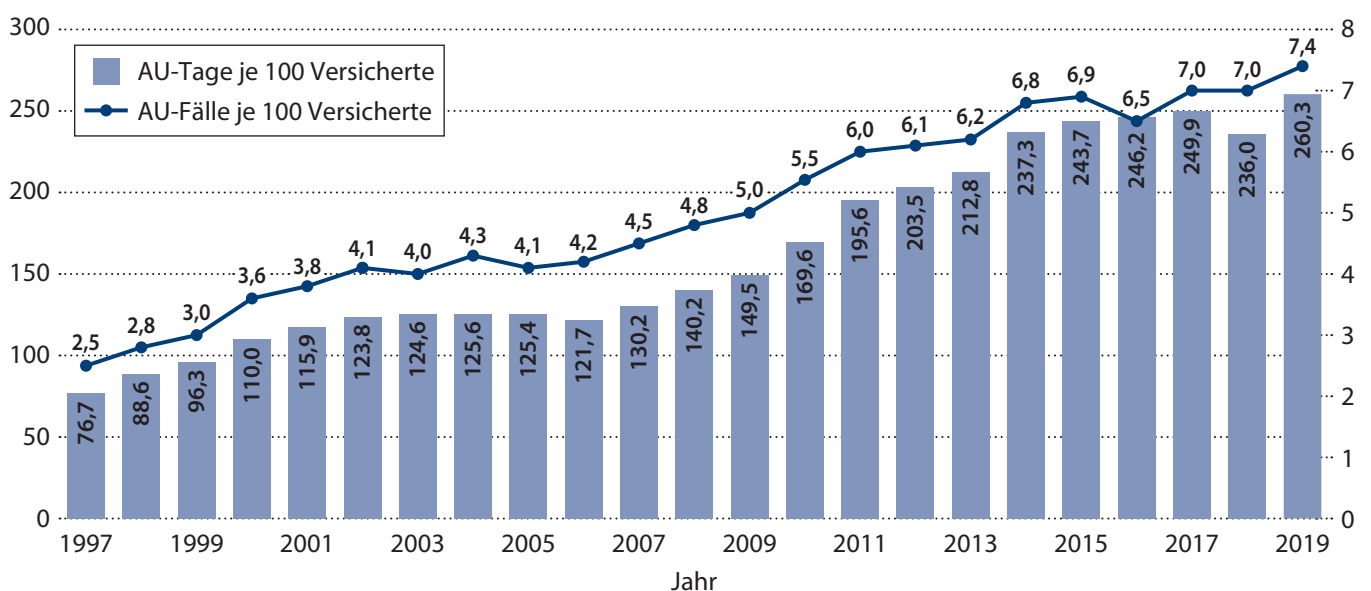


Anja Dorothee Streb, M.A., Abitur 1989 an der Deutschen Schule Tokyo. Studium der Japanologie und Anglistik. Seit 2008 Referentin der Klinik für Psychiatrie und Psychotherapie, LMU München, zuständig für Koordination und redaktionelle Bearbeitung wissenschaftlicher Angelegenheiten.



PD Dr. Cornelius Schüle, Studium der Humanmedizin an der Rupprecht-Karls-Universität Heidelberg. Promotion 2001 an der LMU München Weiterbildung zum Facharzt für Psychiatrie und Psychotherapie. Seit 2009 Oberarzt an der Psychiatrischen Klinik der LMU, zuständig u. a. für die Depressionsstation.

Psychische Erkrankungen erreichen den Höchststand



Quelle: <https://www.dak.de/dak/download/190725-pm-psycho-report-pdf-2125480.pdf>

Abbildung 2: Eine maßgebliche Ursache für die zunehmenden Arbeitsunfähigkeitstage sind depressive Erkrankungen. Die AU-Tage haben im Jahr 2019 mit 260 Tagen je 100 Versicherten einen neuen Höchststand erreicht.

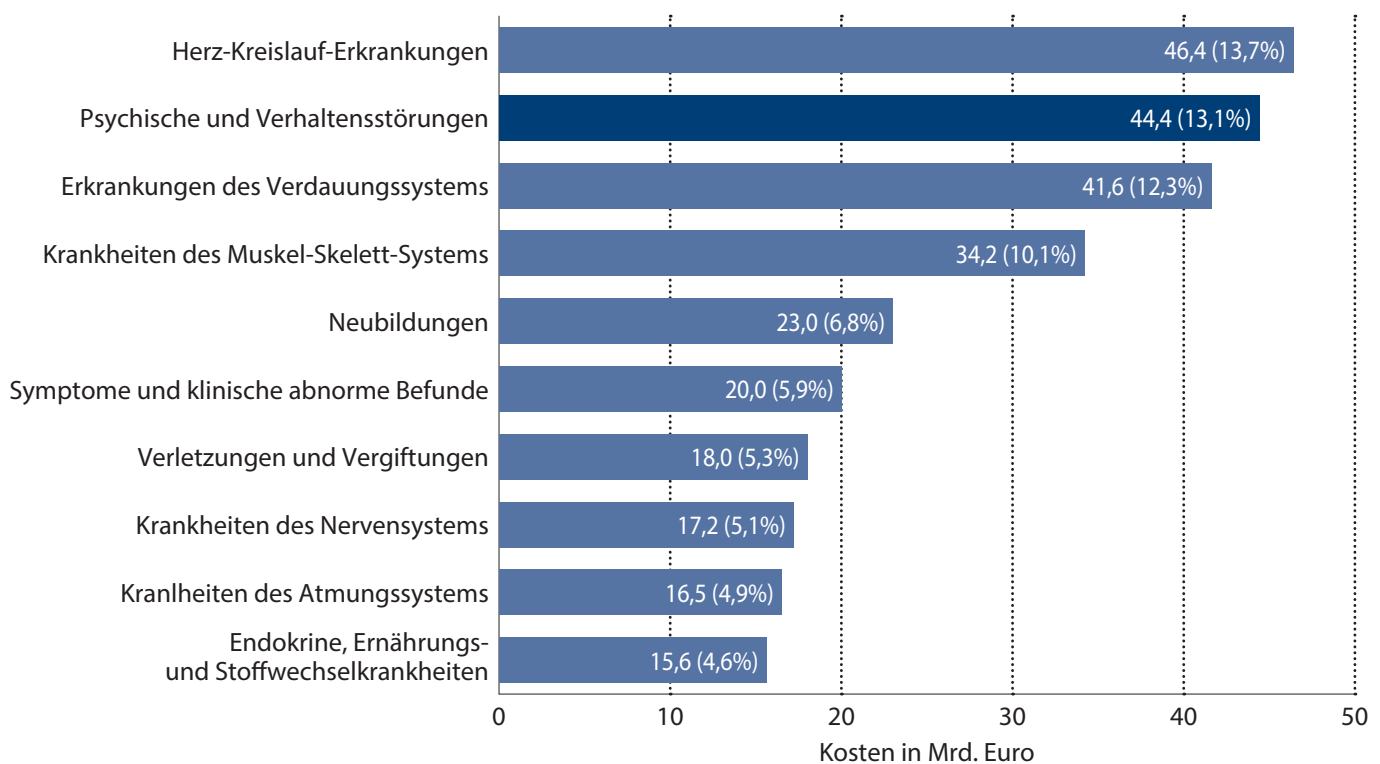
Fehltag und Arbeitsunfähigkeitsraten (Abbildung 2) bei psychischen Erkrankungen³. Mit 13 Prozent der Gesamtkosten tragen diese wesentlich zu den 44,4 Milliarden Euro direkter Krankheitskosten in Deutschland (Abbildung 3) bei⁴. Gleichzeitig werden neue pharmakologische Ansätze jedoch immer seltener, da das Interesse der Pharmaindustrie an der Neuentwicklung von Medikamenten für psychische Erkrankungen in den letzten Jahren spürbar nachgelassen hat.

2. Das AMNOG-Verfahren

Mit der Verabschiedung des Arzneimittelneuordnungsgesetzes (AMNOG) im Januar 2011 kam es zur Aufhebung der

bis dato geltenden Bonus-Malus-Regelung im Bereich der Arzneimittelverordnungen. Grundlage der Bonus-Malus-Regelung war das 2006 in Kraft getretene Arzneimittelversorgungswirtschaftlichkeitsgesetz (AVWG). Diese Regelung sah Strafzahlungen für Ärzte vor, wenn diese für bestimmte Krankheiten die festgelegten Tagestherapiekosten überschritten (Malus). Dahingegen gab es einen Bonus für die Kassenärztliche Vereinigung, wenn Ärzte besonders günstige alternative Arzneimittel und kleinere Dosierungen verschrieben. Die Berechnung der Tagestherapiekosten wurden aus Medikamenten des unteren Preisdrittels und einer angenommenen mittleren Tagesdosis (MTD) ermittelt. Bei all dem unberücksichtigt blieben individuelle

Direkte Kosten in Deutschland – die häufigsten Erkrankungen



Quelle: Deutsche Psychotherapeuten Vereinigung e.V. (2020): Report Psychotherapie 2020

Abbildung 3: Die direkten Kosten psychischer Erkrankungen in Deutschland addierten sich zuletzt jährlich auf rund 44,4 Milliarden Euro – fast so viel wie die Kosten von Herz-Kreislauf-Erkrankungen.

Besonderheiten, die Schwere der Erkrankung und vorhandene Begleiterkrankungen, kritisiert wurden zudem die Belohnung von Rationierung medizinischer Leistungen sowie eine zunehmende Erschütterung des Vertrauensverhältnisses zwischen Arzt und Patient. Der Pharmaindustrie wurde die besondere Höhe des Ausgabenanstiegs für neue Arzneimittel vorgeworfen, da die Hersteller die Preise für neue Arzneimittel bisher selber festlegen konnten – ein hoher Preis war längst nicht immer durch einen entspre-

chend hohen Zusatznutzen für die Patienten gerechtfertigt.

Ziele des AMNOG sind 1) die Eindämmung der rasant steigenden Arzneimittelausgaben der gesetzlichen Krankenkassen, 2) die Förderung von fairem Wettbewerb und stärkerer Orientierung am Wohl des Patienten, 3) eine neue Balance zwischen Innovation und Bezahlbarkeit von Medikamenten, 4) eine Preisbestimmung basierend auf dem Zusatznutzen der Medikamente und 5) bessere Infor-

mation der Patienten durch eine unabhängige Patientenberatung.

Gewünschte Konsequenzen des AMNOG sind zum einen jährliche Einsparungen für die gesetzliche Krankenversicherung sowie zum anderen mehr Wettbewerb. Pharmazeutische Unternehmen können die Preise für Arzneimittel nicht mehr nach eigenem Ermessen festlegen. Zudem wird innerhalb eines Jahres nach Markteinführung der Erstattungsbetrag zwischen Arzneimittelhersteller und den gesetzlichen Krankenkassen verhandelt. Dieser Betrag gilt auch für Privatversicherte und Selbstzahler. Weitere Ziele sind die Deregulierung durch das AMNOG in Form von Aufhebung der Bonus-Malus-Regelung, die Aufhebung der Zweitmeinungsregelung (hochpreisige Arzneien oder solche mit hohem Risikopotenzial dürfen nicht ohne Rückmeldung von einem weiteren Arzt verordnet werden) sowie der Abbau von Bürokratie für Versicherte und Leistungserbringer.

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) als höchstes Gremium der gemeinsamen Selbstverwaltung im Gesundheitswesen Deutschlands ist durch den Gesetzgeber beauftragt, in vielen Bereichen über den Leistungsanspruch der Solidargemeinschaft von etwa 70 Millionen in Deutschland gesetzlich krankenversicherten Menschen rechtsverbindlich zu entscheiden. Er prüft, ob Leistungen der Gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) „ausreichend, zweckmäßig und wirtschaftlich sind“ (nach Paragraph 12 SGB V dürfen sie „das Maß des Notwendigen nicht überschreiten“ (Wirtschaftlichkeitsgebot)). Der G-BA beschließt Richtlinien, wie z. B. die Hilfsmittel-Richtlinie, die Heilmittel-Richtlinie oder die Arzneimittel-Richtlinie.

Die Richtlinien des G-BA sind trotz „untergesetzlichem Normencharakter“ für alle gesetzlich Krankenversicherten und Akteure in der GKV rechtlich bindend (z. B. für die ambulante Behandlung bei niedergelassenen Ärzten, Zahn-

ärzten, Therapeuten und Psychotherapeuten sowie bei Behandlungen in Krankenhäusern und Kliniken). Es handelt sich nur um formale, nicht inhaltliche Prüfungen durch das Bundesministerium für Gesundheit. Der Ausschuss wird vom Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) in Form von Gutachten unterstützt.

3. Beispiele für die Anwendung des AMNOG-Verfahrens/Zweckmäßige Vergleichstherapie

- Vortioxetin (Brintellix®): kein Zusatznutzen in der Akuttherapie sowie in der Rückfallprophylaxe der Depression,
- Lurasidon (Latuda®): kein Zusatznutzen in der Akuttherapie sowie in der Rückfallprophylaxe der Schizophrenie,
- Nalmefen (Selincro®): bei Reduktion des Alkoholkonsums Zusatznutzen von Nalmefen gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie nicht belegt,
- Lisdexamfetamin (Elvanse®): Zulassung für ADHS bei Kindern und Jugendlichen ab sechs Jahren, die auf eine Therapie mit Methylphenidat unzureichend angesprochen haben. Zusatznutzen gegenüber Atomoxetin nicht belegt,
- Cariprazin (Reagila®): Zusatznutzen nur zur Behandlung der Negativsymptomatik der Schizophrenie, Kalkulation eines Mischpreises (Vermeidung der Zusatzkosten in der Behandlung der Produktivsymptomatik).

Im AMNOG-Verfahren hat der G-BA unter Mitwirkung des IQWiG einen Zusatznutzen von beispielsweise Vortioxetin (Brintellix®) nicht anerkannt. Die Folge: Das Präparat ist zwar weiterhin zugelassen, wird jedoch nicht in der Höhe des von der Firma angestrebten Preises erstattet, und somit de facto in Deutschland vom Markt genommen. Die Kritik: Es wurde ausschließlich die Akuttherapie getestet, es gab keine Studien zur Untergruppe der leichten Episoden, bei schweren depressiven Episoden gab es einen Vergleich mit Citalopram ohne Berücksichtigung von Psychothera-

pie. Bei Meta-Analysen (mangels direkt vergleichender Studien) wurden 14 Studien mit Vortioxetin und 10 mit Citalopram identifiziert, aber nur drei bzw. vier dieser Studien berücksichtigt. Vortioxetin (Brintellix®) wurde zwar zugelassen, jedoch konnte nur ein sehr niedriger Marktpreis erzielt werden, der den Erstattungskosten des bereits seit langer Zeit zugelassenen selektiven Serotoninwiederaufnahmehemmers (SSRI) Fevarin entsprach. Die Herstellerfirma nahm Vortioxetin (Brintellix®) in Deutschland wieder vom Markt, da ansonsten andere europäische Länder dieses Präparat sehr billig in Deutschland hätten beziehen können.

Hinsichtlich Nalmefen (Selincro®) sollte Naltrexon als zweckmäßige Vergleichstherapie zum Rückfallschutz von Alkoholkrankheiten dienen, wobei aus Sicht des IQWiG die vom Hersteller vorgelegten Daten ungeeignet waren, einen Zusatznutzen zu belegen. Sie erlaubten nur einen indirekten Vergleich zwischen Nalmefen und Naltrexon, der zudem die methodischen Mängel aufwies, dass Patienten und Behandlungsziele sich in sechs von sieben Studien zu Naltrexon grundlegend von denen in den Nalmefen-Studien unterschieden, in der siebten Studie Naltrexon zeitweise nicht zulassungskonform eingesetzt wurde, und für relevante Zeiträume in der Studie die Auswertungen fehlten.

Im Hinblick auf Cariprazin (Reagila®) wurde vom G-BA gegenüber einer zweckmäßigen Vergleichstherapie anhand der Studienlage kein Zusatznutzen in der Akutbehandlung der Schizophrenie bei Erwachsenen gesehen. Allerdings konnte in einer kontrollierten Studie ein „kleiner, aber robuster Effekt auf Negativsymptome“ von Cariprazin bei schizophrenen Patienten gezeigt werden, der den Effekten von Risperidon statistisch signifikant überlegen war. Somit sah der G-BA zumindest „Anhaltspunkte für einen Zusatznutzen“ bei schizophrenen Patienten, bei denen die Minussymptomatik überwiegt, wobei der Zusatznutzen

vorwiegend in der Langzeitbehandlung und Rückfallprophylaxe der Schizophrenie gesehen wurde.

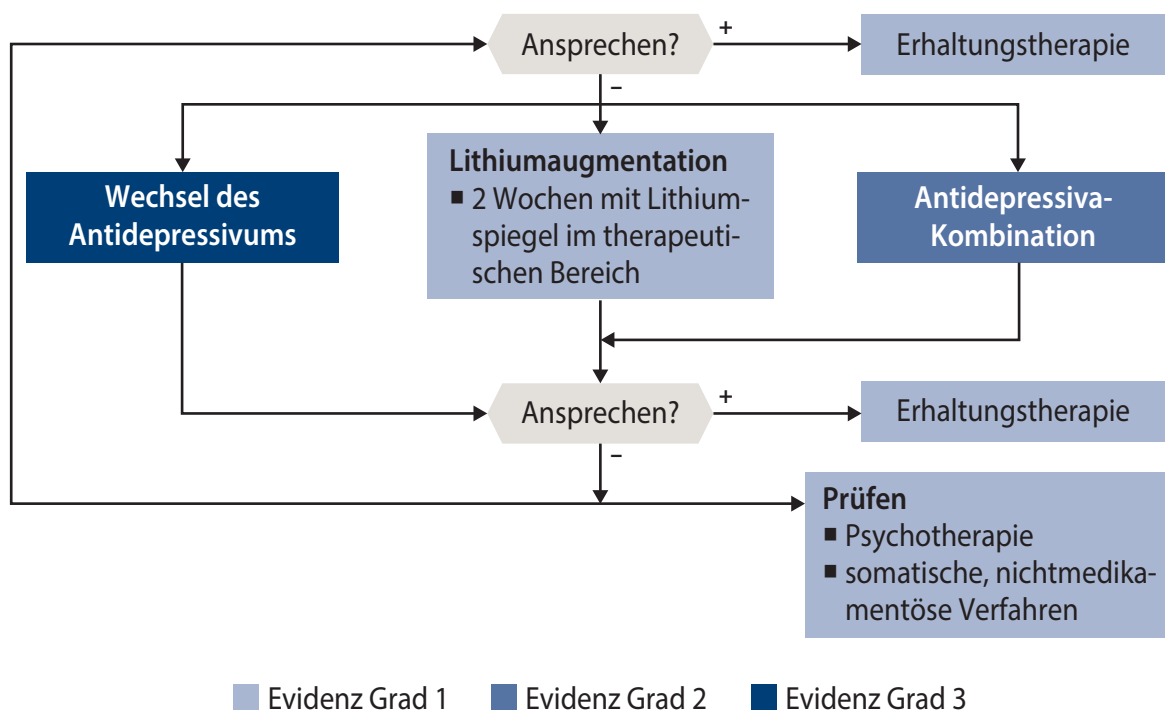
Vor Einführung des AMNOG-Verfahrens wurde eine vergleichbare Wirkung gegenüber einer Standardtherapie und Überlegenheit gegenüber Placebo für einen Wirksamkeitsnachweis für ausreichend befunden, um eine Zulassung und erhöhte Erstattungskosten des neuen Präparates im Rahmen des Patentschutzes zu erlauben, wobei die Herstellerfirma den Preis letztendlich selber bestimmen konnte. Nach Einführung des AMNOG-Verfahrens ist eine vergleichbare Wirkung gegenüber einer bereits etablierten Standardtherapie und Überlegenheit gegenüber Placebo nun nicht mehr ausreichend, der Nachweis eines Zusatznutzens ist erforderlich, um für das neu zugelassene Präparat einen erhöhten Marktpreis rechtfertigen zu können, wobei ein nachzuweisender Zusatznutzen des neuen Medikaments direkten Einfluss auf die Preisverhandlungen zwischen dem Hersteller und den gesetzlichen Krankenkassen hat.

Am Beispiel der medikamentösen Behandlung von depressiven Patienten soll nochmals erläutert werden, inwieweit für eine neue Therapiestrategie die Überlegenheit gegenüber einer zweckmäßigen Vergleichstherapie nachgewiesen werden kann. Gemäß den Leitlinien nennt der Algorithmus zur antidepressiven Pharmakotherapie bei unzureichender Response (Abbildung 4) prinzipiell drei Möglichkeiten:

- Wechsel des Antidepressivums,
- Augmentation (zusätzliche Gabe eines Medikaments, das nicht alleine antidepressiv wirkt, aber die Wirkung eines Antidepressivums verstärken kann),
- Kombination (zusätzliche Gabe eines weiteren Antidepressivums).

Bemerkenswert ist zum einen, dass der Augmentationsstrategie noch vor der Kombinationsstrategie der höchste

Antidepressive Pharmakotherapie bei unzureichender Response



Quelle: Bschor T, Bauer M, Adli M (2014): Chronic and treatment resistant depression: diagnosis and stepwise therapy. Dtsch Arztebl Int 111: 766-776.⁵

Abbildung 4: Gemäß den Leitlinien werden im Algorithmus zur antidepressiven Pharmakotherapie im Falle einer unzureichenden Response drei Möglichkeiten genannt.

Evidenzgrad beigemessen wird und der Wechsel des Antidepressivums durch empirische Studien weniger gut belegt ist. Zum anderen wird bei den Augmentationsstrategien Lithium an vorderster Stelle herausgehoben, auch wenn andere Augmentationsverfahren (z. B. Augmentation mit Schilddrüsenhormon oder mit atypischen Antipsychotika wie Quetiapin oder Aripiprazol) in Metaanalysen unter Umständen noch bessere Ergebnisse erzielen als Lithium (Abbildung 5). Im Hinblick auf die Rolle des G-BA und

zweckmäßiger Vergleichstherapie bei Zulassung von Augmentationsverfahren kennt dieser im Gegensatz zur DGPPN-Leitlinie kein „Ranking“ der Therapieoptionen bei Patienten mit einer therapieresistenten Depression (TRD). Prinzipiell mögliche zweckmäßige Vergleichstherapien wären 1) ein Wechsel des Präparates (mit Wechsel der Substanzklasse), 2) Kombinationsstrategien oder 3) Augmentationsstrategien.

Im Hinblick auf Augmentationsverfahren als zweckmäßi-

Metaanalyse verschiedener Augmentationsverfahren

ARI	1.61 (0.54–4.18)	1.39 (0.48–3.54)	1.93 (0.53–5.17)	1.16 (0.42–2.72)	1.29 (0.31–3.72)	1.23 (0.49–2.74)	3.79 (0.43–15.28)	1.46 (0.62–3.33)	1.18 (0.43–2.82)	3.84 (0.75–12.82)	1.24 (0.72–2.41)
1.49 (0.70–2.66)	BUP	0.94 (0.39–1.98)	1.42 (0.32–3.92)	0.84 (0.25–2.07)	0.95 (0.19–2.81)	0.90 (0.28–2.10)	2.79 (0.27–11.56)	1.07 (0.37–2.51)	0.85 (0.27–1.99)	2.72 (0.51–8.92)	0.85 (0.39–1.97)
1.53 (0.76–3.59)	1.08 (0.60–1.73)	BUS	1.64 (0.38–4.43)	0.97 (0.30–2.28)	1.09 (0.22–3.15)	1.04 (0.33–2.32)	3.21 (0.32–13.28)	1.22 (0.43–2.74)	0.96 (0.34–2.09)	3.04 (0.65–9.27)	0.99 (0.46–2.22)
1.71 (0.66–3.59)	1.24 (0.44–2.80)	1.19 (0.44–2.61)	LAM	0.74 (0.21–1.97)	0.85 (0.15–2.76)	0.81 (0.22–2.15)	2.49 (0.23–10.76)	0.95 (0.28–2.55)	0.78 (0.20–2.18)	2.51 (0.37–9.24)	0.70 (0.30–2.06)
1.23 (0.62–2.04)	0.89 (0.41–1.61)	0.84 (0.44–1.47)	0.82 (0.33–1.70)	LIT	1.26 (0.28–3.61)	1.21 (0.43–2.66)	3.73 (0.40–15.28)	1.37 (0.65–2.70)	1.15 (0.38–2.71)	3.70 (0.71–12.10)	1.18 (0.61–2.46)
1.39 (0.56–2.78)	1.01 (0.38–2.19)	0.96 (0.38–2.04)	0.95 (0.29–2.30)	1.19 (0.49–2.51)	MPD	1.29 (0.31–3.64)	3.98 (0.32–17.58)	1.53 (0.39–4.39)	1.24 (0.28–3.69)	4.03 (0.54–15.31)	1.06 (0.42–3.60)
1.37 (0.71–2.25)	0.99 (0.46–1.84)	0.95 (0.48–1.70)	0.93 (0.36–2.03)	1.17 (0.62–2.07)	1.11 (0.45–2.30)	OLZ	3.37 (0.38–13.60)	1.29 (0.55–2.80)	1.05 (0.38–2.41)	3.41 (0.66–11.20)	1.11 (0.62–2.07)
2.00 (0.73–4.35)	1.45 (0.49–3.33)	1.38 (0.51–3.04)	1.35 (0.39–3.44)	1.71 (0.63–3.89)	1.63 (0.49–4.06)	1.53 (0.56–3.41)	PDL	0.81 (0.09–3.16)	0.66 (0.07–2.61)	2.14 (0.14–9.92)	0.36 (0.09–2.71)
1.00 (0.50–1.58)	0.72 (0.33–1.26)	0.68 (0.35–1.15)	0.67 (0.26–1.41)	0.83 (0.51–1.26)	0.81 (0.33–1.61)	0.76 (0.40–1.24)	0.59 (0.21–1.26)	QTP	0.87 (0.32–1.88)	2.83 (0.56–9.06)	0.94 (0.52–1.63)
1.29 (0.65–2.24)	0.93 (0.44–1.77)	0.88 (0.46–1.58)	0.87 (0.32–1.94)	1.10 (0.56–2.02)	1.05 (0.41–2.27)	0.99 (0.50–1.81)	0.76 (0.27–1.72)	1.35 (0.72–2.51)	RIS	3.48 (0.78–10.58)	1.15 (0.59–2.46)
1.04 (0.47–1.97)	0.75 (0.32–1.50)	0.71 (0.34–1.34)	0.70 (0.24–1.63)	0.87 (0.45–1.59)	0.85 (0.30–1.92)	0.80 (0.36–1.57)	0.61 (0.20–1.47)	1.09 (0.53–2.08)	0.85 (0.40–1.59)	THY	0.36 (0.12–1.51)
1.85 (1.27–2.72)	1.29 (0.78–2.34)	1.25 (0.82–2.12)	1.12 (0.57–2.59)	1.56 (1.05–2.55)	1.37 (0.74–2.99)	1.40 (0.96–2.24)	0.96 (0.47–2.33)	1.92 (1.39–3.13)	1.49 (0.94–2.51)	1.84 (1.06–3.56)	PBO

■ Treatment ■ Response rate, OR (95% CrI) ■ All-cause discontinuation, OR (95% CrI)

^a Drugs are reported in alphabetical order. Comparisons between treatments should be read from left to right. The estimate is in the cell in common between the column-defining treatment and the row-defining treatment. For the response rate and all-cause discontinuation, ORs greater than unity favor the column-defining treatment. To obtain ORs for comparisons in the opposite direction, reciprocals should be taken. Significant results are in bold.

Abbreviations: ARI = aripiprazole, BUP = bupropion, BUS = buspirone, CrI = credible interval, LAM = lamotrigine, LIT = lithium, MPD = methylphenidate, OLZ = olanzapine, OR = odds ratio, PBO = placebo, PDL = pindolol, QTP = quetiapine, RIS = risperidone, THY = thyroid hormone.

Hauptergebnis: Einzig Quetiapin (OR=1,92), Aripiprazol (OR=1,85), Schilddrüsenhormon (OR=1,84) und Lithium (OR=1,56) zeigten sich anhand der Response-Raten Placebo überlegen

Quelle: Zhou X et al. (2015): Comparative efficacy, acceptability, and tolerability of augmentation agents in treatment-resistant depression: systematic review and network meta-analysis. J Clin Psychiatry 76(4):e487–98.⁶

Abbildung 5: Bei den Augmentationsstrategien wird Lithium an vorderster Stelle herausgehoben, obwohl andere Augmentationsverfahren in Metaanalysen unter Umständen noch bessere Ergebnisse erzielt haben als Lithium.

ger Vergleichstherapie ergibt sich folgendes:

- Lithium: in der DGPPN-Leitlinie mit höchster Evidenz

angegeben, zur Augmentation bei TRD, deswegen nach G-BA zweckmäßige Vergleichstherapie,

- Augmentation mit Schilddrüsenhormon: keine Zulassung als Augmentationsstrategie bei TRD, deswegen nach G-BA keine zweckmäßige Vergleichstherapie,
- Quetiapin: als Augmentationsstrategie bei TRD zugelassen, deswegen zweckmäßige Vergleichstherapie nach G-BA,
- Aripiprazol: in den USA, nicht jedoch in Europa als Augmentationsstrategie bei TRD zugelassen, deswegen nach G-BA keine zweckmäßige Vergleichstherapie.

Bei der jüngsten Markteinführung von intranasalem Esketamin (Spravato®) in Deutschland (1. März 2021) diente in den Zulassungsstudien ein Wechsel des Antidepressivums als zweckmäßige Vergleichstherapie⁷, wobei zu Beginn der Studien sowohl in der Verumgruppe (intranasale Applikation von Esketamin) als auch in der Placebogruppe (intranasale Verabreichung von Placebo) ein Wechsel des Antidepressivums vorgenommen wurde und sich die Wahl des Antidepressivums auf SSRI und duale Antidepressiva (SNRI) beschränkte. In zwei weiteren Zulassungsstudien bei Patienten mit einer mittelschweren oder schweren Depression und konkreten Suizidgedanken konnte zwar kein statistisch signifikanter Effekt von intranasalem Esketamin (Spravato®) auf die Suizidalität, jedoch ein rascher Effekt innerhalb eines Tages auf die depressive Symptomatik als solche beobachtet werden^{8,9}. Aus diesem Grund ergeben sich die beiden folgenden Indikationen für das neu auf dem Markt eingeführte intranasale Esketamin (Spravato®):

- Anwendung in Kombination mit einem SSRI oder SNRI bei Erwachsenen mit therapieresistenter Major Depression, die in der aktuellen mittelgradigen bis schweren depressiven Episode auf mindestens zwei unterschiedliche Therapien mit Antidepressiva nicht angesprochen haben.
- Anwendung in Kombination mit einer oralen antidepressiven Therapie bei erwachsenen Patienten mit einer

mittelgradigen bis schweren Episode einer Major Depression als akute Kurzzeitbehandlung zur schnellen Reduktion depressiver Symptome, die nach ärztlichem Ermessen einem psychiatrischen Notfall entsprechen.

Beispiele für Anwendungsverfahren des AMNOG in der Neurologie bei Neuzulassung von Pharmaka für Multiple Sklerose wären Teriflunomid (kein Zusatznutzen, deshalb Preis gesenkt), Ocrelizumab (Zusatznutzen nur für die primär progrediente MS, nicht für die hochaktive schubförmige) oder Sipolimod (sekundär progrediente MS, wird wohl keinen Zusatznutzen erhalten, wäre aber eine erwünschte Erweiterung des Spektrums aus Sicht des Kliniklers).

Literatur

¹ Deutsche Psychotherapeuten Vereinigung e.V. (2020): Report Psychotherapie 2020. Berlin.

² <https://www.awmf.org/leitlinien/detail/II/nvl-005.html>.

³ <https://www.dak.de/dak/download/190725-pm-psychoreport-pdf-2125480.pdf>

⁴ https://www.dgppn.de/_Resources/Persistent/a2e357dac62be19b5050a1d89ffd8603cfd8ef9/20201008_Factsheet.pdf

⁵ Bschor T, Bauer M, Adli M (2014): Chronic and treatment resistant depression: diagnosis and stepwise therapy. Dtsch Arztebl Int 111: 766-776.

⁶ Zhou X et al. (2015): Comparative efficacy, acceptability, and tolerability of augmentation agents in treatment-resistant depression: systematic review and network meta-analysis. J Clin Psychiatry 76(4):e487-98.

⁷ Popova V et al. (2019): Efficacy and Safety of Flexibly Dosed Esketamine Nasal Spray Combined With a Newly Initiated Oral Antidepressant in Treatment-Resistant Depression: A Randomized Double-Blind Active-Controlled Study. Am J Psychiatry 176:428-438.

⁸ Fu DJ et al. (2020): Esketamine Nasal Spray for Rapid Reduction of Major Depressive Disorder Symptoms in Patients Who Have Active Suicidal Ideation With Intent: Double-Blind, Randomized Study (ASPIRE I). J Clin Psychiatry 81(3):19m13191.

⁹ Ionescu D et al. (2021): Esketamine Nasal Spray for Rapid Reduction of Depressive Symptoms in Patients With Major Depressive Disorder Who Have Active Suicide Ideation With Intent: Results of a Phase 3, Double-Blind, Randomized Study (ASPIRE II). Int J Neuropsychopharm 24(1): 22-31.

Partizipation der Fachgesellschaften im AMNOG-Verfahren am Beispiel Onkologie

Prof. Dr. Thomas Seufferlein, Präsident der Deutschen Krebsgesellschaft, Klinik für Innere Medizin I, Universitätsklinikum Ulm | Dr. Johannes Bruns, Generalsekretär der Deutschen Krebsgesellschaft

*Die Onkologie ist bei den AMNOG-Verfahren zahlenmäßig stark vertreten. In dem Gesetz für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung (GSAV) wurde festgelegt, dass zu Fragen der zweckmäßigen Vergleichstherapie (ZVT) die wissenschaftlich-medizinischen Fachgesellschaften schriftlich beteiligt werden sollen. Die Fachgesellschaften machen von dieser Möglichkeit auch regen Gebrauch und bringen ihre Kompetenz in 80 bis 90 Prozent der AMNOG-Verfahren aktiv ein. Dabei müssen sie sich auch mit den divergenten Perspektiven von IQWiG und EMA auseinandersetzen. Leitlinien kommt bei der Festlegung der Position der Fachgesellschaften eine wichtige Bedeutung zu. Definition patientenrelevanter Endpunkte, die Gewichtung oder Aufsummierung derselben stellt ein weiteres Diskussionsfeld dar. Zudem ergeben sich aus der ebenfalls im GSAV verankerten Option anwendungsbegleitende Datenerhebungen von den Unternehmen seitens des G-BA beauftragen zu können neue Handlungsfelder. Fachgesellschaften in der Onkologie sind sehr aktive Partner*innen bei der Zusatznutzenbewertung, und das auf vielen Ebenen – im Stellungnahmeverfahren, bei der Erstellung von Leitlinien, aber auch durch Engagement in Registern, zertifizierten Zentren und der Tumordokumentation. Über die Jahre wurden etliche Prozesse im AMNOG-Verfahren verbessert.*

Ausgangssituation
Die Prämissen des AMNOG-Verfahrens sind klar: Es ist unter anderem ein Zusatznutzen einer neuen Substanz gegenüber einem Komparator, der zweckmäßigen Vergleichstherapie nachzuweisen, patientenrelevante Endpunkte müssen validiert sein, um für einen möglichen Zusatznutzen in Frage zu kommen, Subgruppenanalysen sind verpflichtend darzulegen und der Zusatznutzen wird durch Aggregation von Endpunkten bestimmt. Auch Patientenzahlen müssen nachvollziehbar abgeleitet werden und mittlerweile ist auch eine anwendungsbegleitende Datenerhebung vorgesehen (siehe Abbildung 1).

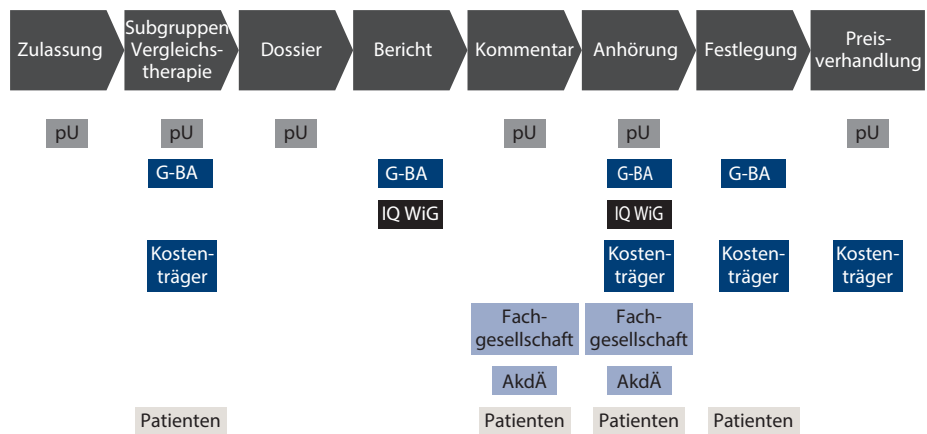
Die Onkologie ist aufgrund einer Vielzahl von therapeutischen Innovationen in den vergangenen Jahren bei den AMNOG-Verfahren zahlenmäßig stark vertreten. Von 2011 bis 2017 waren 139 von insgesamt 595 Verfahren in 18 Fachgebieten der Onkologie zuzurechnen. Mit 235 aller Verfahren ist die Onkologie die größte Gruppe im AMNOG, gefolgt von der Hämatologie mit zehn Prozent. Betrachtet man den Ausgang der Verfahren, wurde ein beträchtlicher Zusatznutzen am häufigsten Medikamenten aus der Onkologie zuerkannt¹ (siehe Abbildung 2).

Beteiligung der Fachgesellschaften

Die zweckmäßige Vergleichstherapie (ZVT) spielt im AMNOG-Verfahren eine wichtige Rolle und wird vom G-BA zu Beginn des Verfahrens auf Basis eigener Kenntnisse und Recherchen festgelegt. Probleme können entstehen, wenn keine ZVT festgelegt ist oder die gewählte ZVT nicht mehr dem Stand der Wissenschaft entspricht. Der G-BA trägt diesem Umstand dadurch Rechnung, dass die ZVT im Laufe eines Verfahrens geändert werden kann, wenn neue Erkenntnisse vorliegen, die den allgemein anerkannten Stand der medizinischen Erkenntnisse verändern. Um die-

Prämissen des AMNOG-Verfahrens

- **Zweckmäßige Vergleichstherapie**
 - Vom GBA bestimmter Komparator, gegenüber dem der Zusatznutzen nachzuweisen ist
- **Patientenrelevante Endpunkte**
 - Mortalität, Morbidität und Lebensqualität; Surrogatparameter müssen validiert sein, um für den Zusatznutzennachweis in Frage zu kommen
- **Subgruppen**
 - Subgruppenanalysen verpflichtend darzulegen
- **Bestimmung Zusatznutzen**
 - Durch Aggregation der Endpunkte
- **Patientenzahlen**
 - Nachvollziehbare Ableitung der Patientenzahlen erforderlich
- **Anwendungsbegleitende Datenerhebung**



Quelle: AWMF/DGHO 2019

Abbildung 1: Das enge Zeitraster des AMNOG-Verfahrens macht eine Stellungnahme binnen weniger Wochen nötig.

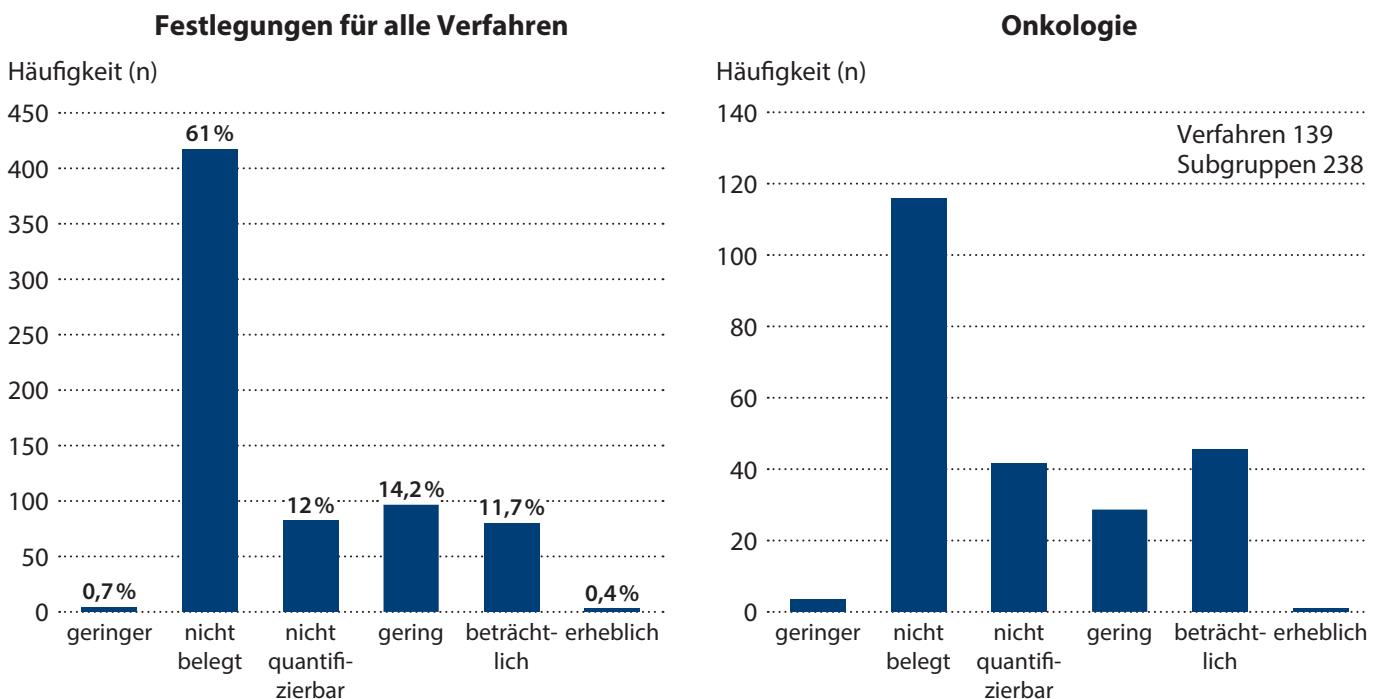


Professor Dr. Thomas Seufferlein ist Präsident der Deutschen Krebsgesellschaft. Er studierte Medizin in Regensburg und München. Nach mehrjährigen Forschungsaufenthalten in Großbritannien ging er 1996 nach Ulm. Dort war er bis September 2008 tätig, unter anderem als Leitender Oberarzt. Es folgte eine vierjährige Zwischenstation in Halle (Saale), bevor er als Ärztlicher Direktor der Klinik für Innere Medizin I an die Universitätsklinik Ulm zurückkehrte.



Dr. Johannes Bruns ist seit 2006 Generalsekretär der Deutschen Krebsgesellschaft e. V., Berlin. Er studierte Medizin, Mathematik und Sportwissenschaft an der Universität Bonn und war nach ärztlicher Tätigkeit an der Klinik und Poliklinik für Unfallchirurgie zunächst als wissenschaftlicher Mitarbeiter im Deutschen Bundestag tätig. Anschließend Tätigkeit als Abteilungsleiter für Grundsatzfragen der Medizinischen Versorgung beim damaligen VdAK.

Bewertung des Zusatznutzens in allen Verfahren und in der Onkologie 2011–2018



Quelle: AWMF/DGHO 2019

Abbildung 2: Mit 139 von 595 Verfahren ist die Onkologie vor der Hämatologie das am stärksten vertretene Fachgebiet bei der frühen Nutzenbewertung. Überdurchschnittlich häufig wurde dabei ein „beträchtlicher“ Zusatznutzen zuerkannt.

sen Stand zu kennen, wurde seit längerem eine Einbindung der zuständigen Fachgesellschaften gefordert.

Dieser Forderung wurde mit dem Gesetz für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung (GSAV) Rechnung getragen, das festlegt, dass zu Fragen der Vergleichstherapie die wissenschaftlich-medizinischen Fachgesellschaften schriftlich beteiligt werden sollen. Die Fachgesellschaften machen von dieser Möglichkeit auch regen Gebrauch und bringen ihre Kompetenz in 80 bis 90 Prozent der AMNOG-Verfahren aktiv ein (siehe Abbildung 3). Das setzt neben ei-

ner hohen Kompetenz bei den Fachgesellschaften auch eine schnelle Reaktionsfähigkeit und damit ein professionelles Team für die Beantwortung der Fragen voraus. Dies stellt die Fachgesellschaften vor hohe Anforderungen, insbesondere wenn die Anfragen sehr zahlreich kommen, da es für die vorgenommene Bewertung keine Gegenleistung gibt, d. h. die Arbeit ehrenamtlich erfolgt, aber eine nicht unerhebliche Infrastruktur vorgehalten werden muss.

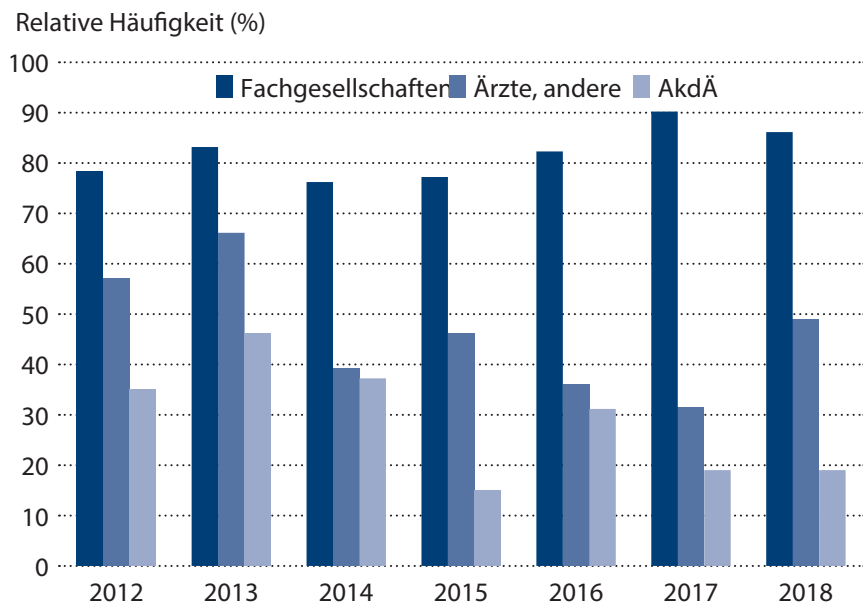
Die Fachgesellschaften müssen sich natürlich auch mit den unterschiedlichen Perspektiven von IQWiG und EMA

Beteiligung von wissenschaftlichen medizinischen Fachgesellschaften

- Einbezug erst nach Veröffentlichung der Berichte des IQWiG bzw. des G-BA als Stellungnahmeberechtigte
- Anteil Beteiligung der wiss. medizinische Fachgesellschaften **etwa 80 bis 90 %**
- Sehr aktive Partner in der Zusatznutzenbewertung

Voraussetzung:

- Hohe Kompetenz
- Schnelle Reaktionsfähigkeit
- Professionelle Zusammenstellung
- Hohe Anforderungen an FGs (ohne Gegenleistung)
 - DGHO, AWMF mit herausragender Leistung



Quelle: AWMF/DGHO 2019

Abbildung 3: Über die Jahre hinweg haben Fachgesellschaften in 80 bis 90 Prozent der AMNOG-Verfahren ihre Expertise eingebracht.

auseinandersetzen. Während das IQWiG in seinen HTAs methodisch auf Diagnose, Subgruppen, Lebensqualität, Überleben und Kosten fokussiert, sind für Zulassungsbehörden wie die EMA Indikation, pharmazeutische Qualität, Wirksamkeit und Unbedenklichkeit sowie das Nutzen-Risiko-Verhältnis von primärer Bedeutung. Für Fachgesellschaften ist der Nutzen eines Medikaments für Patient*innen absolut vorrangig. In diesem Zusammenhang muss auch überlegt werden, inwieweit sich der in einer klinischen Studie dargestellte Stand der medizinischen Erkenntnisse im klinischen Versorgungsalltag beim konkreten Patient*inneneinsatz realisieren lässt. Für diese klini-

Unterschiedliche Perspektiven bei der Zulassung und im HTA-Verfahren

EMA/Zulassung

- Indikation/Off label use
- Pharmazeutische Qualität
- Wirksamkeit
- Unbedenklichkeit
- Nutzen-Risiko Verhältnis

HTA/Zusatznutzenbewertung

- Diagnose
- Subgruppe
- Lebensqualität
- Überleben
- Kosten

Quelle: Eigene Darstellung

Abbildung 4: Das IQWiG fokussiert in seinen Berichten auf andere Punkte als die EMA bei der Zulassung.

sche Nutzenabschätzung werden eigene Erfahrungen, Daten aus Registern und auch Leitlinien herangezogen und die Bewertung selbst fließt als Empfehlung wieder in die Leitlinien ein (siehe Abbildung 4).

Rolle von Leitlinien

Leitlinien, die durch die Fachgesellschaften initiiert und getragen werden, haben sich in der Onkologie etabliert und sind für die qualitätsgesicherte Versorgung von Patient*innen in der Onkologie essenziell. Das Onkologische Leitlinienprogramm (OL) von Deutscher Krebshilfe, Deutscher Krebsgesellschaft und AWMF deckt aktuell über 90 Prozent der großen Tumorentitäten ab. Viele der Leitlinien sind bereits als sogenannte „Living Guideline“ mit regelmäßigen unterjährigen Updates strukturiert. Darüber hinaus wurde mit dem Instrument des Amendments die Möglichkeit geschaffen, sehr schnell neue Daten aus der Wissenschaft in Leitlinien zu überführen. Damit können die Leitlinien die Forderung nach Aktualität immer besser erfüllen. Voraussetzung für diese Prozesse war die Einführung eines Content-Management-Systems für das OL. Als nächster Schritt wird aktuell im OL eine Stelle für die Datenanalyse aus HTAs u. a. von IQWiG, FDA und EMA und anderen Organisationen eingerichtet. Diese Berichte sollen aufbereitet und kontinuierlich den Leitliniengruppen für die Aktualisierung von Leitlinien zur Verfügung gestellt werden.

Endpunkte von Studien im AMNOG-Verfahren

Ein wesentlicher Diskussionspunkt für die Fachgesellschaften im AMNOG-Verfahren ist die Frage des geeigneten Endpunkts einer Studie. Auch hier gibt es eine Diskrepanz zwischen den Kriterien der Zulassungsbehörden und Zusatznutzenbewertung. Zulassungsbehörden akzeptieren deutlich mehr Endpunkte der Morbidität, als für die Nutzenbewertung eines Arzneimittels akzeptiert werden. Da-

zu gehören Überlebensraten zu einem bestimmten Zeitpunkt oder krankheitsfreies und ereignisfreies Überleben, die aus klinischer Sicht vor allem bei therapienaiven Patient*innen durchaus relevante Endpunkte sein können, da sie Therapieversagen und Therapie-assoziierte Letalität erfassen und weniger durch Komorbidität, aber auch Postprogressionstherapien beeinflusst werden. Diese Endpunkte werden im AMNOG-Verfahren kritisch gesehen und finden kaum Anerkennung.

Auch die Gewichtung Patient*innen-relevanter Endpunkte ist ein Diskussionspunkt: Wie gewichtet man z.B. Verlängerung des Überlebens, Verbesserung der Lebensqualität und Verringerung der Nebenwirkungen? Hier spielen Patient*innen-individuelle Faktoren eine wesentliche Rolle, z.B. eine evtl. Vortherapie, spezifische Komorbiditäten, aber auch spezifische Erwartungen der Patient*innen. Hier können Fachgesellschaften aus ihrer klinischen Erfahrung wichtige Impulse einbringen, die in einem rein methodisch orientierten Ansatz schwer erfassbar sind.

Problematisch aus Sicht der Fachgesellschaften ist in diesem Zusammenhang die im Rahmen der frühen Nutzenbewertung durchgeführte Aufsummierung von teilweise sehr unterschiedlichen Nebenwirkungen und dies auch ohne Differenzierung des klinischen Schweregrads. Es stellt sich generell die Frage, inwieweit Nebenwirkungen einfach aufsummierbar sind, da sie Patient*innen ganz unterschiedlich beeinträchtigen. Daher ist auch eine Aufrechnung von Nebenwirkungen gegenüber klinischen Endpunkten zwar möglich, aber nur begrenzt sinnvoll. Wesentlich ist hier die Patient*innenentscheidung nach ausführlicher Aufklärung über Nutzen und Nebenwirkungen, in die auch die individuelle Einschätzung des klinischen Eindrucks des/der behandelnden Arztes/Ärztin eingeht. Zu berücksichtigen ist auch, dass bei der frühen Nutzenbewertung vielfach Nebenwirkungsdaten noch fehlen, z.B.

da bestimmte Patient*innengruppen wie z.B. hochbetagte Patient*innen in Studien unterrepräsentiert sind und gerade bei sehr innovativen Substanzen das Nebenwirkungsmanagement noch nicht optimal etabliert ist. Hier zeigen sich klare Handlungsfelder für die anwendungsbegleitende Datenerhebung.

Anwendungsbegleitende Datenerhebung in der Onkologie

Das Gesetz für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung (GSAV) legt fest, dass der G-BA künftig Anwendungsbeobachtungen, Fall-Kontroll-Studien oder Registerstudien von den Hersteller*innen neuer Arzneimittel verlangen darf. So soll weitere Evidenz zu Arzneimitteln nach der Zulassung generiert werden, bei denen die Evidenzlage zum Zeitpunkt der Nutzenbewertung noch unzureichend ist, z. B. bei beschleunigt zugelassenen Arzneimitteln oder Orphan Drugs. Das ist prinzipiell ein richtiger Schritt. Das IQWiG hat hierzu eine wissenschaftliche Ausarbeitung von Konzepten zur Generierung versorgungsnaher Daten und deren Auswertung zum Zwecke der Zusatznutzenbewertung erstellt. Hierin stellt das IQWiG u. a. fest, dass die versorgungsnahen Daten, die zum Zweck der Zusatznutzenbewertung von Arzneimitteln erhoben werden, ausreichend valide und strukturiert sein müssen.

Da bei der Erhebung versorgungsnaher Daten aber die Behandlung ohne spezifische Vorgaben erfolgt, werden bestimmte Daten, die für die Zusatznutzenbewertung notwendig sind, im Behandlungsalltag nicht bei allen Patient*innen dokumentiert. Zu denken ist hier z. B. an die gesundheitsbezogene Lebensqualität oder die umfassende Dokumentation von Nebenwirkungen. Spezielle Register und elektronische Patient*innenakten, auf die für die anwendungsbegleitende Datenerhebung zugegriffen werden könnte, existieren nicht oder nicht flächenhaft bzw.

nicht umfassend für alle Entitäten oder sind aus datenschutzrechtlichen Gründen nicht ausreichend zugänglich. Auch die Abrechnungsdaten von Krankenkassen helfen vielfach nicht weiter, da z. B. patientenberichtete Endpunkte sich in diesem Datensatz nicht finden.

Das IQWiG hält fest, dass auch bei Nutzung von Versorgungsdaten ein studienbasierter Vergleich zwischen neuem Arzneimittel und der vom G-BA bestimmten Vergleichstherapie erforderlich sei. Dies ist in der Praxis aber fast nie der Fall. Somit ist die Forderung des IQWiG nach mindestens vergleichenden Studien ohne Randomisierung mit den erforderlichen Endpunkten zu Mortalität, Morbidität, Lebensqualität sowie Nebenwirkungen schwer zu realisieren, auch wenn das IQWiG konzidiert, dass auch Vergleiche mit historischen Kontrollen eine Option darstellen.

Die methodischen Anforderungen an eine anwendungsbegleitende Datenerhebung müssen in den Behandlungsalltag integrierbar sein, verfügbare Endpunkte müssen verzeichnet sein und Confounder sowie weitere Anforderungen vorab transparent sein. Wünschenswert ist ein Verzeichnis von bestehenden, nutzbaren Datenquellen oder Registern mit Qualitätskriterien und Meta-Daten, die den G-BA-Anforderungen zumindest weitgehend genügen. Dazu scheint es dringend erforderlich, bereits bestehende Registerstrukturen in der Onkologie zu stärken und weiterzuentwickeln, gerade auch im Hinblick auf die spezifische Auswertbarkeit von Behandlungsdaten, z. B. im Rahmen einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung.

Die DKG hat in ihrem Positionspapier zur „Wissen generierenden onkologischen Versorgung“ von 2017² bereits festgestellt: „Zur Erreichung einer zuverlässigen Evidenz nach der Zulassung neuer Medikamente sind Postzulassungsstudien der Goldstandard. Daneben müssen ergänzende, neue Formen der Evidenzgenerierung (Versorgungsstudien, Krebsregister) ihren Niederschlag finden. Ei-

ne Finanzierung dieser Maßnahmen ist sicherzustellen. Die Steuerung dieser Maßnahmen wird einer nationalen Einrichtung übertragen, die wissen(schaft)s-gesteuert arbeiten muss.“ Das neue Krebsregisterdaten-Gesetz des Bundes sieht in seiner ersten Stufe eine Zusammenführung von Daten der Krebsregister durch das Zentrum für Krebsregisterdaten (ZfKD) im Robert Koch-Institut vor.

Fazit

Fachgesellschaften in der Onkologie sind sehr aktive Partner*innen bei der Zusatznutzenbewertung, und das auf vielen Ebenen – im Stellungnahmeverfahren, bei der Erstellung von Leitlinien, aber auch durch Engagement in Registern, zertifizierten Zentren und der Tumordokumentation (siehe Abbildung 5). Über die Jahre wurden etliche Prozesse im AMNOG-Verfahren verbessert. Die Bewertung von Endpunkten für die Zusatznutzenbewertung durch Methodiker und Fachgesellschaften divergiert noch.

Die anwendungsbegleitende Datenerhebung ist ein erster, sinnvoller Schritt, weitere Evidenz zu Arzneimitteln nach der Zulassung zu erzeugen, aber auch eine Herausforderung. Die vom IQWiG aufgestellten Kriterien sind anspruchsvoll und werden zum jetzigen Zeitpunkt auch von Krebsregisterdaten nur zum Teil erfüllt. Da die Register aber bereits existieren und die Zusammenführung der Registerdaten eine gesetzliche Regelung gefunden hat, sollte dies Ansporn sein, die Entwicklung der Register und die Auswertung der dort erhobenen Daten für Fragestellungen der Versorgungsforschung voranzutreiben. Letztlich müssen all diese Maßnahmen dem Patienten dienen und ein maximaler Nutzen wird nur durch Zusammenwirken aller beteiligten Kräfte zu erzielen sein.

Fazit: Partizipation am Beispiel der Onkologie

- Die Onkologie ist aktiver Partner bei der Nutzenbewertung
 - auf vielen Ebenen – u.a. Fachgesellschaften, Leitliniengruppen, Register, ADT
- Etliche Punkte im Verfahren wurden verbessert (ZVT)
- Diskrepanz zwischen Zulassungsverfahren und Nutzenbewertung bzgl. der Endpunktebewertung immer noch schwierig (Zielsetzung)
- Anwendungsbegleitende Datenerhebung wichtig, aber auch eine Herausforderung:
 - Kriterien anspruchsvoll
 - Krebsregisterdaten zum Teil geeignet
 - Register weiterentwickeln (ZFKD und mehr)
 - Weitergehendere Unterstützung von öffentlichen Registern und Zentren für umfassendere Datenerhebung (Beispiel Großbritannien)

Quelle: Eigene Darstellung

Abbildung 5: Die anwendungsbegleitende Datenerhebung ist ein sinnvoller, aber auch anspruchsvoller Schritt, um weitere Evidenz nach der Zulassung zu erzeugen.

Literatur

¹ Positionspapier von AWMF und DGHO: Frühe Nutzenbewertung neuer Arzneimittel in Deutschland 2011-2018 - Gerechtigkeit und Nachhaltigkeit; Band 13 der Gesundheitspolitischen Schriftenreihe der DGHO.

² AG Zukunft der Onkologie; Positionspapier zur „Wissen generierenden onkologische Versorgung“ Deutsche Krebsgesellschaft 2017 (<https://www.krebsgesellschaft.de/wissen-generierende-Versorgung.html>).

Die Rolle der Fachgesellschaften im AMNOG aus Sicht der Politik

Prof. Dr. Andrew John Ullmann | Mitglied des Deutschen Bundestags

Um die Rolle der Fachgesellschaften im AMNOG nachvollziehen zu können, muss man sich die Grundsätze des AMNOG-Verfahrens vergegenwärtigen. Mit dem Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz vom Januar 2011 wurden die Preise innovativer Medikamente in Deutschland reguliert. Die Preise für patentgeschützter Arzneimittel werden auf Basis einer Zusatznutzenbewertung bestimmt. Die Krankenkassen zahlen dann den Preis, der dem zusätzlichen Nutzen des Arzneimittels entspricht. Die Preise werden so in einem bezahlbaren Rahmen gehalten, ohne Innovationen im Markt zu schädigen, die schließlich die Behandlung der Patienten nachhaltig verbessern.

Die Entscheidung über den Zusatznutzen eines Arzneimittels trifft der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA). Dieses höchste Gremium der Selbstverwaltung in Deutschland besteht aus Vertretern der Kostenträger/der Krankenkassen und den Leistungserbringern. Bei den Leistungserbringern werden die Sitze im G-BA unter der Deutschen Krankenhausgesellschaft, der Kassenärztlichen Bundesvereinigung und der Kassenzahnärztlichen Bundesvereinigung aufgeteilt. Zusätzlich gibt es drei unparteiische Mitglieder. Die Zusatznutzenbewertung dieses Gremiums ist die Grundlage für die Preisverhandlung in der Gesetzlichen Krankenversicherung. Das gesamte Verfahren dauert regulär zwölf Monate. Die Erstattungsbeträge greifen direkt im Anschluss und gelten sowohl für die gesetzliche als auch für die private Krankenversicherung.

Aufgrund der Bedeutung des AMNOG-Verfahrens für die Gesundheitsversorgung in unserem Land, müssen die besten Informationen im Verfahren vorhanden sein. Zudem müssen Praktiker, die die Patienten behandeln und die neuen Arzneimittel anwenden, breit in den Bewertungsprozess miteingebunden werden. Nur als stimmberechtigte Vertretung im G-BA zu sitzen, wird dem breitvorhande-

nem Know-how aus der Medizin nicht gerecht. Fachgesellschaften müssen an den Beratungen zur zweckmäßigen Vergleichstherapie noch stärker teilnehmen.

Ich teile auch die Einschätzung der Arbeitsgemeinschaft der Wissenschaftlichen Medizinischen Fachgesellschaften und der Deutschen Gesellschaft für Hämatologie und Medizinische Onkologie, dass die frühe Nutzenbewertung transparent bleiben muss und ohne eine Vielzahl zusätzlicher Berichte zeitgerecht durchführbar ist. Die Information von Ärztinnen und Ärzten über Ergebnisse der Nutzenbewertung muss zudem umfassend und im Kontext der Leitlinien erfolgen und das Verfahren der Preisbildung muss rechtssicher sein. Auch teile ich die Ansicht, dass für nachhaltige Festlegungen späte Nutzenbewertungen erforderlich sind und diese müssten auch gesundheitsökonomische Aspekte berücksichtigen.

Die Rolle der medizinischen Fachgesellschaften im AMNOG wurde zuletzt im Gesetz für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung (GSAV) gestärkt. Dafür wurde Absatz 7 im Paragraphen 35a SGB V angepasst. Die frühere Fassung lautete: „(7) Der Gemeinsame Bundesausschuss berät den pharmazeutischen Unternehmer insbesondere zu vorzulegenden Unterlagen und Studien sowie zur Vergleichstherapie. Er kann hierüber Vereinbarungen mit dem pharmazeutischen Unternehmer treffen. Eine Beratung vor Beginn von Zulassungsstudien der Phase drei oder zur Planung klinischer Prüfungen soll unter Beteiligung des Bundesinstituts für Arzneimittel und Medizinprodukte oder des Paul-Ehrlich-Instituts stattfinden. Der pharmazeutische Unternehmer erhält eine Niederschrift über das Beratungsgespräch. Das Nähere einschließlich der Erstattung der für diese Beratung entstandenen Kosten ist in der Verfahrensordnung zu regeln.“

In diesem Paragraphen wurde folgender Satz eingefügt: „Zu Fragen der Vergleichstherapie sollen unter Beachtung

der Betriebs- und Geschäftsgeheimnisse des pharmazeutischen Unternehmers die wissenschaftlich-medizinischen Fachgesellschaften und die Arzneimittelkommission der deutschen Ärzteschaft schriftlich beteiligt werden.“

Diese Neuregelung im GSAV ist ausdrücklich zu begrüßen, denn die meisten wissenschaftlich-medizinischen Fachgesellschaften haben eine große Erfahrung in der Erstellung von Leitlinien und in der Versorgungspraxis. Bisher war die Einbindung der wissenschaftlich-medizinischen Fachgesellschaften erst im Rahmen des Stimmrechtsverfahrens möglich. Die frühzeitige Einbindung bei der Festlegung der zweckmäßigen Vergleichstherapie ist daher wichtig.

In der zukünftigen Ausrichtung des Nutzenbewertungsverfahrens müssen die medizinisch-wissenschaftlichen Fachgesellschaften weiter eine starke Rolle einnehmen, denn sie kennen die Herausforderungen des klinisch-medizinischen Alltags genauer. In welcher Form dies sein wird, bedarf jedoch einer weiteren Debatte.



Prof. Dr. Andrew John Ullmann

ist Mitglied der FDP und gehört dem Deutschen Bundestag seit 2017 an. Er ist Professor für Infektiologie an der Julius-Maximilians-Universität Würzburg und Facharzt für Innere Medizin, Hämatologie, internistische Onkologie und Infektiologie.

Patientenvertreter im G-BA: Gibt es tatsächlich Reformbedarf?

Dr. Jürgen Bausch | Kinderarzt und Ehrenvorsitzender der KV Hessen

Die Mitwirkung von Betroffenen an Entscheidungen von Institutionen, deren Arbeit unmittelbare Wirkung für jeden Einzelnen bedeuten kann, ist ein demokratisches Grundprinzip. Dass solche Mitwirkungsrechte mitunter notwendige Prozesse erleichtern, aber auch behindern können, wissen wir aus den Erfahrungen im Ausbau von Fernstraßen oder neuen Windenergieanlagen und Bahntrassen, aber auch in der Bedarfsplanung von Krankenhäusern oder der ambulanten vertragsärztlichen Versorgung.

Bei Entscheidungen über Anwendung und Erstattung von Arzneimitteln zu Lasten der Gesetzlichen Krankenversicherung werden regelhaft individuelle Patienteninteressen tangiert. Samt einigen nicht zwangsläufig evidenzbasierten Wunschvorstellungen (Stichwort: Alternativmedizin auf Kassenleistung). Offenkundig wurde diese Problematik erstmals in breiterem Umfang im Bereich der ambulanten Arzneimittelversorgung vor etwa 20 Jahren aufgegriffen.

Auf der Basis einer gesetzlichen Vorgabe, das Arzneimittelpositivlistengesetz, hat das Gesundheitsministerium eine neunköpfige Positivlistenkommission berufen, die den Auftrag hatte, alle im deutschen Markt befindlichen Arzneimittel zu bewerten, um daraus eine Liste zu erstellen, die dann die Verordnungsgrundlage in der ambulanten vertragsärztlichen Versorgung werden sollte. Die Aufgabe für die Kommission aus dem Gesetz lautete: Positiv zu listen sind alle Arzneimittel, die einen „mehr als geringfügigen Nutzen“ für die Patienten der GKV belegen können.

Reichlich Widerstand gegen die Positivliste

Als diese Positivliste – damals von den Kassenärzten mehrheitlich gewünscht – im zweiten Anlauf fertiggestellt war, gab es reichlich Kritik und Widerstand. Zunächst von negativ betroffenen Herstellern und ihren mächtigen Pharma-

verbänden, aber auch aus den Lagern von Patientenorganisationen, soweit bislang erstattete und geläufige Arzneien nicht positiv gelistet worden waren, da sie aus Kommissionssicht keinen „mehr als geringfügigen Nutzen“ aufwiesen. Obwohl sie die Zulassungshürden der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA) oder des Bundesinstituts für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM) erfolgreich überwunden hatten. Erstmals tauchte im SGB V der Begriff des „Nutzens“ von Arzneimitteln auf neben dem weit geläufigeren Begriff der arzneimittelrechtlichen Zulassung.

Die Positivliste verschwand aus übergeordneten politischen Gründen in den Schubladen des Bundesgesundheitsministeriums und wurde später nie wirksam. Aber es hatte sich im Beratungsprozess für dieses Positivlistenkonstrukt fachlich herausgestellt, dass die Nutzenbelege vieler etablierter, aber auch einiger neuer Wirkstoffe, die sich großer Beliebtheit bei den Verordnern und Patienten erfreuen, so dürftig war, dass Gesundheitspolitiker aus Regierung und Opposition diesen Mangel an fachlich fundierten Belegen zum Nutzen von Arzneien als ein zu korrigierendes politisches Handlungsfeld entdeckten.

Neuanfang mit der Gründung des IQWiG

Aus dieser parteiübergreifenden Erkenntnis ergab sich im Herbst 2003 eine eher stille und unspektakuläre Verabredung zwischen maßgeblichen Gesundheitspolitikern in Regierung und Opposition: Positivliste in den Papierkorb und statt dessen Mitte 2004 Neuanfang mit der Gründung eines wirkmächtigen Instituts für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG), um unter anderem den Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA) in die Lage zu versetzen, verordnende Vertragsärzte und Kostenträger mit geprüften evidenzbasierten Erkenntnissen versorgen zu können.

Ziel: das GKV-Verordnungsgeschehen zu Lasten der Kas-

sen rationaler und rationeller zu gestalten. Arzneimittel mit umstrittener Wirkung oder nicht hinreichender Nutzenbeleglage sollte zu Lasten der Krankenkassen nicht mehr verordnet werden.

Statt erneut weitere „Verordnungslisten“ zu erstellen, schaltete der G-BA auch mit Hilfe des IQWiG schnell auf das Instrument der verbindlichen Therapiehinweise für die Vertragsärzte als Teil der Arzneimittelrichtlinie um. Und erstmals Anfang 2004 wurden Patientenvertreterinnen und -vertreter in die Beratungen des G-BA aufgenommen. Die entstammten in der Entstehungsphase als Experten ihrer eigenen Erkrankungen direkt den existierenden einschlägigen krankheitsbezogenen Patientenselbsthilfeorganisationen. Damals bis heute erhielten im G-BA die Patientenvertreterinnen und -vertreter: Rede- und Antragsrecht, Zugang zu allen Informationen, die verfügbar waren, aber kein Stimmrecht, wenn sich die Vertreter der Kassen und der Ärzte über den Arzneimittelnutzen trotz Zulassung für

Patienten nicht einig waren und eine Mehrheitsentscheidung erforderlich wurde.

Bis heute hat sich an dieser Grundstruktur – trotz diverser Änderungen, auch des Zugangs in die Gremien des G-BA – nichts geändert (zum Beispiel Aufnahme der Krankenhausgesellschaft auf der Ärztebank oder die Rechtsverordnung über die Legitimation der Patientenvertreter im G-BA). Ganz abgesehen von dem vor zehn Jahren erlassenen Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz (AMNOG) mit seiner frühen Nutzenbewertung. Natürlich unter Einbeziehung der Patientenvertretung, die mittlerweile auch eine eigene Stabsstelle beim G-BA bekommen hat.

Es gibt sie also, die Partizipation der Patienten an den G-BA-Entscheidungen, auch wenn im Konstrukt die Spieße nicht ganz gleichlang sind. Kein Wunder, dass immer mal wieder aus sehr unterschiedlichen Motiven erneut die Forderung aufgestellt wird, den Patientenvertretern auch ein formales Stimmrecht zu verleihen, das bislang nur den Kassen- und Ärztevertretern der praktizierten Selbstverwaltung in Parität zusteht.

Dieser fundamentale demokratische Ansatz hätte bei Realisierung allerdings im Konstrukt der Selbstverwaltung erhebliche und unabsehbare Konsequenzen. Weswegen alle kundigen Thebaner abwinken, wenn diese Frage mal wiederauftaucht – dies ist in einer gewissen Regelmäßigkeit vor allem bei Parlamentswahlen der Fall.

Gibt es mehr als einen formalen Änderungsbedarf?

Die Frage ist jedoch nach rund sechzehnjähriger Mitwirkung der Patientenvertreter im G-BA: Gibt es einen inhaltlichen und nicht nur einen formalen Änderungsbedarf für eine neue Entscheidungspraxis des G-BA, weil Patienteninteressen grob missachtet werden?

Oder anders gefragt: Ist die praktizierte Partizipation der Patienten im G-BA nur ein demokratisches Feigenblatt?



Dr. Jürgen Bausch, Jahrgang 1937, Medizinstudium in Frankfurt/Main und München. Promotion 1962, seit 1970 Kinderarzt. Ab 1975 niedergelassen in einer fachübergreifenden Gemeinschaftspraxis in Bad Soden-Salmünster (Hessen). Ehemaliger Vorsitzender des Hartmannbunds in Hessen, Ehrenvorsitzender der KV Hessen. Jahrzehntelanger Einsatz für eine rationale Pharmakotherapie, unter anderem im Gemeinsamen Bundesausschuss.

Dies wird mehrheitlich auch aus dem Kreis der Vertretungsberechtigten nicht behauptet. Und der unparteiische Vorsitzende des G-BA, Professor Josef Hecken, betont immer wieder die aktive Mitwirkung der Patientenvertretung an den Entscheidungen des G-BA. Insbesondere, was die frühe Nutzenbewertung von Arzneimitteln betrifft. Dies schließt kontroverse Einschätzungen im Einzelfall nicht aus. Die kommen allerdings auch auf den Bänken der Ärzte- und Kassenvertreter durchaus vor.

Denn selbst im Zeitalter der evidenzbasierten Medizin kommt es bei absolut gleicher Datenlage unter den Mitwirkenden zu unterschiedlichen Einschätzungen – aus welchen Gründen auch immer. Und deswegen ist ein unparteiischer Vorsitzender mit seinen beiden unparteiischen Stellvertretern im Konstrukt der Selbstverwaltung von Kassen und KVen unverzichtbar.

Patientenvertreter und Fachgesellschaften: Unverzichtbare Ressourcen im AMNOG

Von Dr. Florian Staeck

Mit der angemessenen Einbindung von Patientenbelangen und Erkenntnissen wissenschaftlicher Fachgesellschaften in den Prozess der frühen Nutzenbewertung verbindet sich nicht nur die Hoffnung auf eine sensible Berücksichtigung der von Betroffenen und Fachleuten eingebrachten Aspekte. Sondern mit diesem Vorgehen ist auch die Erwartung verbunden, dass eine stärkere Beteiligung dieser Akteure das Grading des Zusatznutzens, soweit erforderlich, beeinflusst und damit langfristig die unmittelbare Versorgung patientenzentrierter gelingt.

Darin waren sich die Teilnehmer der 13. Tagung der interdisziplinären Plattform zur Nutzenbewertung einig. Pandemiebedingt fand die Konferenz, die unter dem Titel „Patientenorganisationen und medizinische Fachgesellschaften: Was ist ihre Rolle bei der Nutzenbewertung?“ stand, am 19./20. März 2021 ausschließlich als Online-Format statt.

Jenseits dieses Generalkonsenses zeigte sich bei Teilnehmern ein breites Meinungsspektrum dazu, ob und wenn ja, durch welche Schritte dies gelingen kann. Die eine Gruppe sprach sich dabei für Beteiligungsformate aus, die über die bisherigen Anhörungsrechte im AMNOG-Verfahren hinausgehen. Eine andere Teilnehmergruppe hinterfragte hingegen die tatsächliche Relevanz vermuteter Defizite der bisherigen Governance-Struktur. Verwiesen wurden unter anderem auf das durch einen sehr straffen Zeitplan strukturierte Verfahren, das letztlich allein vorbereitenden Charakter für die späteren Preisverhandlungen habe. Wer hier angesichts knapper Fristen mehr Partizipation in das Verfahren des Gemeinsamen Bundesausschusses (G-BA) einbauen wolle, werde schnell an Grenzen stoßen, wurde gewarnt. Andere gaben zu bedenken, eine Rekrutierung gleichsam „professioneller“ Patientenvertreter könnte zu

Lasten individueller Patienteninteressen gehen und der Intention einer stärkeren Versorgungsorientierung sogar zuwiderlaufen.

Dem wurde entgegengehalten, die Beteiligung geschulter Patientenvertreter im AMNOG-Prozess stelle eine unverzichtbare Ressource dar, da Patienten insbesondere nach einer schweren Erkrankung spezifisches Erfahrungswissen einbringen könnten. Denn die Perspektive der Patienten gewähre Einblicke in die praktischen Probleme des Versorgungsalltags. Patienten und ihre behandelnden Ärzte kämen im Therapieverlauf immer wieder zu divergierenden Einschätzungen im Hinblick auf Risiken, Nebenwirkungen oder Lebensqualitäts-Aspekte einer therapeutischen Intervention. So seien beispielsweise bei einer Befragung Haarausfall und Neuropathien von Myelom-Patienten und ihren behandelnden Ärzten ganz unterschiedlich eingeschätzt worden. Vergleichbares gelte auch für Risiko-Nutzen-Abwägungen von diagnostischen Verfahren, hieß es.

Wichtige Notarfunktion von Patientenvertretern

Freilich prägen die Charakteristika der jeweiligen Erkrankung die Möglichkeit einer wirkungsvollen Patientenvertretung durch die Betroffenen: Bei demenziellen oder pädiatrischen Erkrankungen muss dies in der Regel durch die Angehörigen übernommen werden. Demgegenüber sind an HIV/Aids erkrankte Personen oftmals hervorragend über ihre Erkrankung informiert und bestens vernetzt. Zugleich kann die gebotene Unabhängigkeit der Patientenvertretung mit den Erfordernissen, Infrastruktur und Expertise vorzuhalten, in Konflikt geraten.

Im Verfahren der frühen Nutzenbewertung nahmen Patientenvertreter schon bisher eine wichtige Notarfunktion wahr, wurde argumentiert: Sie seien Zeugen, dass alle Entscheidungen auf einer ausreichenden Evidenzbasis getroffen wurden; dies stärke die Glaubwürdigkeit des Verfah-

rens, wurde hervorgehoben. Konkretes Systemversagen anhand von Beispielen – bezogen auf den derzeitigen frühen Nutzenbewertungsprozess – wurde aber nicht adressiert.

Im Hinblick auf das Für und Wider der stärkeren Einbeziehung von Patientenorganisationen wurden insbesondere diese Punkte diskutiert:

- **Bisherige Schritte zur Stärkung der Rolle von Patientenvertretern:** Teilnehmer verwiesen darauf, dass der G-BA als Koordinationsstelle und untergesetzliches Normsetzungsgremium ein Gremium ohne Parallele sei. Insofern sei auch die ab 2004 begonnene Integration von Patientenvertretern in den Beratungsprozess ohne Vorbild. Seitdem habe ein fortlaufender Empowerment-Prozess stattgefunden, so dass inzwischen in jeder größeren Patientenorganisation ein Vertreter existiere, der über die nötige Kompetenz verfügt, um Patienteninteressen im AMNOG-Prozess wahrzunehmen, wurde erläutert. Insofern sei seitdem viel geschehen, um, wie es im Patientenrechte-Gesetz von 2013 heißt, Patienten vom Betroffenen zum Beteiligten werden zu lassen.

Dies zeige sich nicht zuletzt bei der Nationalen Dekade gegen Krebs. Dort sei erstmals Patientenpartizipation als eines von sieben vorrangigen Zielen deklariert worden. Ein anderer „Fußabdruck“ der Arbeit von Patientenorganisationen zeige sich in der im Zeitverlauf immer stärkeren Berücksichtigung von Lebensqualität als Endpunkt in klinischen Studien. Dies sei ein wichtiges Korrektiv, um sicherzustellen, dass Nebenwirkungen einer Therapie ausreichend im Bewertungsprozess berücksichtigt werden, wurde argumentiert.

Eine weitere Aufgabe für Patientenorganisationen erwachse aus den Maßgaben zur qualitätsgesicherten Anwendung für ein Medikament durch den G-BA. Hier müsse im Beratungsprozess darauf geachtet werden, dass dabei

die tatsächlichen Versorgungsprozesse im Sinne von „Patient Pathways“ ausreichend mitbedacht werden, hieß es.

Mit Blick auf diese Vielzahl von Aufgaben und angesichts von zuletzt rund 90 Verfahren der frühen Nutzenbewertung im Jahr 2020 sei eine weitere Professionalisierung der Patientenvertretung unumgänglich. Der Aufwand, qualifiziertes Personal zu finden, nehme allerdings stetig zu. Angesichts von oftmals ganztägigen Sitzungen in den Unterausschüssen des G-BA wachse zudem die Gefahr der Überforderung. Hier könne auch die im Bundesausschuss eingerichtete Stabsstelle nur eingeschränkt kompensierend wirken. Die Patientenvertretung als Ehrenamt komme sukzessive an Grenzen, nötig sei insoweit ihre weitere strukturelle Stärkung, lautete die Forderung.

Neue Herausforderungen für die Patientenbeteiligung ergäben sich zudem aus einer sich verändernden Struktur der Selbsthilfe, wurde berichtet. Der Anteil der sich dauerhaft engagierenden Patienten nahm tendenziell in den vergangenen Jahren ab, gerade jüngere Patienten beteiligten sich oft nur noch projektbezogen. Das werde die Rekrutierung qualifizierter Vertreter zusätzlich erschweren.

- **Zur Frage der demokratischen Legitimation von Patientenvertretern:** Die Input-Legitimation der „Bänke“ im G-BA ist unterschiedlich stark ausgeprägt. Während sich bei der Bank der Leistungserbringer eine Legitimation über das „Wahlvolk“ der niedergelassenen Ärzte herleiten lasse, falle die Legitimation der Kassenvertretung durch die oft kritisierten Sozialwahlen eher schwach aus, wurde erläutert. Ähnlich sehe es bei Patientenvertretern aus: Hier habe das Bundesgesundheitsministerium auf Basis der Patientenbeteiligungs-Verordnung vier maßgebliche Verbände nominiert, deren Arbeit durch die BAG Selbsthilfe koordiniert werden. Diese rechtliche Konstruktion sei indes bislang nicht vom Bundessozialgericht beanstandet worden, da die schwache Input-Legitimation durch ein sehr enges

Normenkorsett im Sozialgesetzbuch V begleitet werde, hieß es. Flankiert werde dieses zudem durch die Rechtsaufsicht des Bundesgesundheitsministeriums.

Dieser Auffassung wurde in der Diskussion entgegengehalten, die demokratische Legitimation der Patientenvertreter sei so schwach gar nicht ausgeprägt. Verwiesen wurde für die Patientenbeteiligungs-Verordnung zum einen auf die Ermächtigungsgrundlage im Paragraph 140g SGB V, wodurch eine durchgehende Legitimationskette für die Patientenvertreter geschaffen worden sei. Zum anderen wurde der im Paragraphen 140f Absatz 8 SGB V ausdrücklich erwähnte Koordinierungsausschuss hervorgehoben – dieser sei somit als Institution des Gesundheitswesens verankert worden.

Dessen ungeachtet wurde in der Debatte die derzeitige Legitimation von Patientenorganisationen als „dünn“ bezeichnet, um darauf aufbauend ein Stimm- oder Vetorecht bei Abstimmungen im G-BA proklamieren zu wollen. Für einen solchen Schritt, so die These, finde sich gegenwärtig keine Grundlage im Gesetz. Stattdessen wurde als Denkalternative eine neue Patientenbeteiligungs-Verordnung vorgeschlagen, in der Kompetenzen beschrieben werden, die Patientenvertreter aufweisen müssen, die sich bewerben. Das BMG könne sodann - basierend auf den geforderten Kompetenzen – eine Liste mit Kandidaten von Patientenvertretern erstellen. Sache des Deutschen Bundestags wäre es schließlich, aus dieser Liste geeignete Kandidaten zu wählen. Auf diese Weise ließe sich eine Legitimation für weitergehende Beteiligungsrechte von Patientenvertretern herstellen, lautete der Vorschlag.

- **Optionen einer stärkeren strukturellen Einbindung von Patientenvertretern im Verfahren der frühen Nutzenbewertung:** Eine eher zurückhaltende Position gegenüber einer formalrechtlichen Stärkung von Patientenvertretern wurde in der Diskussion damit begründet, dass bis-

lang – so die Behauptung – nie erkennbar gegen ihren Willen im G-BA Entscheidungen getroffen worden seien. Dem wurde widersprochen mit dem Argument, diese rein output-orientierte Betrachtung greife zu kurz: Patientenvertreter, so die Gegenthese, seien bisher inhaltlich gar nicht in einer Position, die es geboten machen würde, sie zu überstimmen.

Andere Diskussionsteilnehmer beschrieben den Status quo der Einflussnahme als eine Konstruktion, die de facto zwischen Anhörungs- und Mitentscheidungsrecht angesiedelt ist. So hätten Patientenvertreter Rederecht sowie das Recht auf Anwesenheit bei der Entscheidung. Sie könnten dagegen nicht einfordern, dass das Plenum des G-BA abweichende Entscheidungen begründen muss, die der Position der Patientenvertreter widersprechen. Andere Teilnehmer beschrieben die Position der Patientenvertreter speziell im Paragraph 35a-Ausschuss als stark, da der Ausschuss versuche, einvernehmliche Beschlüsse zu fassen. Durch die Aushandlungsprozesse im Vorfeld der Plenumsentscheidung im G-BA nähere sich das Mitberatungsrecht de facto einem Stimmrecht an, so dass ein formales Stimmrecht der Patienten-Bank verzichtbar sei.

Plädiert wurde zudem dafür, die Frage des Stimmrechts immer bezogen auf die einzelnen Gremien im G-BA zu diskutieren. So wurde die Auffassung vertreten, eine weitere stimmberechtigte Bank der Patientenvertreter könnte in Ausschüssen zur Methodenbewertung oder zur Qualitätssicherung die Patientenorientierung sehr wohl befördern. In anderen Konstellationen – erwähnt wurde beispielhaft der Leistungskatalog für Zahnersatz – würde auch ein Stimmrecht der Patientenvertreter dagegen ohne Mehrwert bleiben, wenn weder Kassenvertreter noch Vertreter der Zahnärzte ein Interesse daran haben, entsprechende Leistungen auszuweiten, wurde argumentiert.

- **Patientenvertretung auf europäischer Ebene:** Kont-

rovers debattierten Teilnehmer darüber, inwieweit in anderen Staaten der Prozess der Patientenbeteiligung in der Vergangenheit konsequenter umgesetzt worden ist. Verwiesen wurde dazu beispielhaft auf Großbritannien. Dort habe die Einbindung von Patienten – und von Bürgern wie etwa im Citizen Council – eine längere Tradition als in Deutschland. Dem wurde entgegengehalten, der Nutzenbewertungsprozess zeichne sich im deutschen AMNOG-System durch seine konsequente Transparenz aus. Geschwärzte Passagen wie in Dossiers des NICE gebe es hierzulande nicht. Vor diesem Hintergrund wurde die Vorbildfunktion Großbritanniens an diesem Punkt in Frage gestellt.

Verwiesen wurde darauf, dass in Europa Patientenpartizipation seit zehn Jahren „gelebter Alltag“ sei. Patientenvertreter seien auf EU-Ebene in Programme wie „Horizon 2020“ fest eingebunden und zudem aktive Partner medizinischer Fachgesellschaften. Gleiches gelte für die Beteiligung in den Gremien der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA). Erwähnt wurde weiterhin die EU-Verordnung 536/2014 zu klinischen Studien mit Arzneimitteln in der Humanmedizin, in der gefordert wird, bereits im Prüfplan darzulegen, wo Patientenvertreter eingebunden werden sollen.

Deutschland weise demgegenüber zwar eine starke und gut etablierte Struktur der Selbsthilfe auf, hinke aber bisher bei der systematischen Beteiligung von Patientenvertretern in der klinischen Forschung anderen EU-Staaten hinterher, wurde berichtet. Dabei wäre gerade hier ihre frühe Einbindung vonnöten – dann nämlich, wenn Entscheidungen über das Design klinischer Studien fallen. Denn genau dort könnte der Einfluss der Patientenperspektive am stärksten sein: Es gehe darum, im Forschungsprozess die „richtigen“ Fragen zu stellen, etwa hinsichtlich der zu wählenden Kriterien für die Messung der Lebensqualität in

Studien. In diesen Gremien seien Repräsentanten aus deutschen Patientenorganisationen aber bisher unterdurchschnittlich vertreten.

Analog zur Debatte über Status quo und Reformnotwendigkeiten bei der Beteiligung von Patientenvertretern im AMNOG-Prozess diskutierten die Teilnehmer der Plattform-Tagung über die Integration medizinischer Fachgesellschaften in das Verfahren zur frühen Nutzenbewertung. Hierbei fokussierte sich der Austausch auf diese Aspekte:

- **Status quo der Einbindung von und Herausforderungen für Fachgesellschaften:** Im Jahr 2015 ist bei der AWMF eine eigene ständige Kommission zur „Nutzenbewertung von Arzneimitteln“ gebildet worden, die die Expertise von 179 Fachgesellschaften aus allen Bereichen der Medizin zusammenführen soll. Dies gelinge in hohem Maße, da medizinische Fachgesellschaften in rund 85 Prozent der G-BA-Verfahren zur frühen Nutzenbewertung beteiligt sind, wurde berichtet. In der Onkologie liegt diese Quote sogar bei 97 Prozent, denn angesichts der hohen Zahl an neuen Onkologika seien die einschlägigen Fachgesellschaften besonders häufig gefragt. Auch in der Hämatologie und Dermatologie sowie in der Infektiologie sei die Beteiligung überdurchschnittlich. Unterdurchschnittlich dagegen beispielsweise in der Diabetologie, wo der G-BA besonders häufig einen nicht belegbaren Zusatznutzen festgestellt hat, wurde berichtet.

Insgesamt habe in den vergangenen Jahren die Rate der Beteiligung von Fachgesellschaften an den AMNOG-Verfahren zugenommen. Damit steige für die angefragten Experten auch die Arbeitsverdichtung, so dass es einer besonderen Motivation bedürfe, sich im Falle der Anfrage durch die AWMF-Kommission zu engagieren, hieß es.

Beteiligt worden sind die Fachgesellschaften bis 2019 ausschließlich im Rahmen der Anhörung, also in einer relativ späten Phase des AMNOG-Verfahrens. Dabei existierten

in den einzelnen Fachgebieten unterschiedlich positive Wahrnehmungen dieser Anhörungsverfahren, wurde festgehalten. Das Ressourcenproblem habe sich seit der Neuregelung durch das Gesetz für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung (GSAV) im August 2019 nochmals verschärft. Wiederholt hätten einzelne Fachgesellschaften Anfragen zur Kommentierung im Rahmen der Anhörung deshalb ablehnen müssen. Dies betreffe insbesondere Experten, die bereits beispielsweise durch die Entwicklung einer S3-Leitlinie über mehrere Jahre beansprucht werden.

In der ganz überwiegenden Zahl der Fälle sei aus Sicht der Fachgesellschaften nicht die Bewertung des vom pharmazeutischen Unternehmen eingereichten Dossiers der vordringlichste Punkt. Dies sei vielmehr die Einordnung einer neuen Substanz in den Therapiestandard – im Hinblick auf Leitlinien und Versorgungsaspekte. Zudem seien die Fachgesellschaften hoch interessiert an der Beteiligung von Patienten, die beispielsweise in klinischen Studien bereits Erfahrung mit dem neuen Medikament machen konnten.

Die Abgabe der Stellungnahmen geschehe in der ganz überwiegenden Zahl der Fälle im Konsens der Fachgesellschaften. Doch es habe auch Fälle von Dissens innerhalb der AWMF-Kommission gegeben, der sich aus unterschiedlichen therapeutischen Strategien in verschiedenen Versorgungssettings erklären lasse, wurde berichtet.

Insgesamt wurde die Beteiligung von Fachgesellschaften im AMNOG-Verfahren als reziproker Prozess beschrieben: Die Experten bringen ihre Expertise ein, erhalten aber auch im Gegenzug durch das transparente Verfahren Informationen aus den Dossiers, die zum jeweiligen Zeitpunkt noch nicht anderweitig publiziert worden waren. Durch das Stellungnahmeverfahren nehme zudem nahezu automatisch auch die Kommunikation mit den Kollegen anderer Fachgesellschaften zu. Denn die Bewertungsraster hin-

sichtlich der Festlegung der zVT variierten oft, so dass der Abgleich unterschiedlicher Positionen im Zuge der Erarbeitung einer gemeinsamen Stellungnahme erfolge.

• **Neue Herausforderungen für Fachgesellschaften insbesondere im Kontext des GSAV:** Durch das GSAV ist eine neue Herausforderung auf die Fachgesellschaften gekommen – sie können seitdem bereits bei der Festlegung der zweckmäßigen Vergleichstherapie (zVT) eingebunden werden. In diesem Verfahren äußerten sich die beteiligten Fachgesellschaften gemeinsam, hieß es. Die wissenschaftliche Konsensbildung finde somit vor der Einreichung der Stellungnahme zur zVT statt. Allein von März bis Dezember 2020 habe es 224 Anfragen seitens des G-BA gegeben, in 191 Fällen (85 Prozent) sei eine entsprechende Kommentierung erfolgt. Wichtig sei im Rahmen der neuen Regelung die verlängerte Frist – für die Stellungnahme stehen fünf statt drei Wochen zur Verfügung, wurde erläutert.

Jüngeren Datums sei zudem die Entwicklung, dass Fachgesellschaften vom G-BA auch vermehrt zur Berücksichtigung von Endpunkten in Studien angefragt werden, obwohl dies gesetzlich noch nicht verankert worden ist. Die hohe Zahl an Anfragen sei dabei ein weiterer Belastungstest für das ehrenamtliche Engagement. Vereinzelt wurde daher in der Diskussion die Forderung nach einer zeitlichen Streckung des Verfahrens laut. Vorgeschlagen wurde, ob nicht im Fall eines Dissenses zwischen Fachgesellschaften eine zusätzliche Erklärungsfrist eingeräumt werden könnte. Dem wurde entgegengehalten, der Einbau immer weiterer Beratungsschleifen innerhalb der bestehenden AMNOG-Fristen würde sehr rasch an systemimmanente Grenzen stoßen.

Ergänzt wurde dies mit dem Hinweis: Entscheidend für die Frage, ab wann ein neues Medikament tatsächlich in der Versorgung ankommt, seien nicht alleine formale Fristen – zumal jeder neue Wirkstoff ab Zulassung in Deutsch-

land zur Verfügung steht. Ausschlaggebend sei in vielen Fällen die in Deutschland traditionelle Zurückhaltung vieler verordnender Ärzte, die zunächst abwarten, bis sich der therapeutische Wert eines neuen Präparats in der Versorgung herauskristallisiert hat.

Als besondere Herausforderung wurde in der Diskussion die Verständigung auf eine zVT dann beschrieben, wenn in den einschlägigen Leitlinien keine zVT festgelegt oder aber die Leitlinie veraltet ist. Dies gelte ähnlich auch für die Gewichtung patientenrelevanter Endpunkte. Denn das Binnenverhältnis von Komponenten wie der Verbesserung der Lebensqualität oder der Verringerung von Nebenwirkungen sei in hohem Maße patienten-individuell – hier gingen die subjektiven Wahrnehmungen der Patienten von Nebenwirkungen oft weit auseinander. Methodisch besonders anspruchsvoll sei die Frage, welche Parameter zu welchen geeigneten Zeitpunkten gemessen werden sollen. Hier ergäben sich durch die anwendungsbegleitende Datenerhebung nach Paragraph 35a Absatz 3b SGB V neue Perspektiven. Dafür müssten allerdings beispielsweise vorhandene Register im Hinblick auf ihre Auswertbarkeit weiterentwickelt werden, wurde gefordert. Ziel müsse eine wissengenerierende Versorgung sein, bei der die Zusatznutzenbewertung den Behandlungsprozess, der über Leitlinien abgebildet wird, weiterbringen kann.

• **Optionen für eine bessere Unterstützung und Strukturbildung bei Fachgesellschaften:** Getragen vom Wunsch, Fachgesellschaften noch stärker in das Verfahren der frühen Nutzenbewertung einzubinden, wurde nur vereinzelt gefordert, Fachgesellschaften eine eigene Bank mit Stimmrecht im G-BA zuzubilligen. Dem wurde überwiegend mit Skepsis begegnet. Unstrittig sei es sinnvoll, Fachgesellschaften zu einem früheren Verfahrenszeitpunkt einzubinden – wie unlängst mit dem GSAV geschehen. Wenn die Versorgungsperspektive rechtzeitig in den Blick ge-

nommen werde, könne dies dazu beitragen, Beratungsschleifen im Nachgang zu vermeiden, wurde argumentiert.

Vorrangig sollte es aber darum gehen, dass Expertise im AMNOG-Verfahren dort ankommt, wo sie benötigt wird. Der Status quo, Fachgesellschaften erst via Anhörung zu involvieren, greife vor diesem Hintergrund zu kurz. Eine Alternative könnte darin bestehen, sie stärker in die Facharbeit der Unterausschüsse des G-BA einzubeziehen, wurde vorgeschlagen. Da Fachgesellschaften und die Qualität des Nutzenbewertungsprozesses wechselseitig von diesem Prozess profitierten, spreche viel dafür, die „Kontaktflächen“ des Austauschs zu vergrößern. Dazu, wurde betont, bedürfe es keiner gesetzlichen Vorgabe, da die Mitglieder der Unterausschüsse und die Geschäftsführung des G-BA jederzeit externen Sachverstand hinzuziehen dürfen.

Im Hinblick auf begrenzte Personalressourcen in den Fachgesellschaften warben Diskussionsteilnehmer für deren strukturelle Förderung, nicht dagegen primär um die Unterstützung einzelner Experten. Diese Unterstützung der Infrastruktur von Fachgesellschaften werde bereits teilweise heute schon praktiziert, sollte aber ausgebaut werden, wurde argumentiert. Es gehe dabei insbesondere darum, den beteiligten Experten Wertschätzung zu signalisieren. Die Infrastruktur-Förderung könne auch dazu beitragen, die Fachgesellschaften reaktionsschneller aufzustellen – in Zeiten eines immer intensiveren Austauschs von G-BA, Patientenorganisationen, Fachgesellschaften und weiteren Stakeholdern.

Wie immer die Einbindung von Patienten-Organisationen und Fachgesellschaften in das AMNOG-Verfahren künftig reguliert oder reformiert werden wird: Die Teilnehmer der Plattfortagung zeigten sich überwiegend davon überzeugt, dass dies ein dynamischer Prozess sein muss, der wechselseitige Lernschritte im Sinne einer stärker patientenzentrierten Versorgung eröffnet.

BEIRAT DER INTERDISZIPLINÄREN PLATTFORM

Dr. Jürgen Bausch
Wolfgang van den Bergh
Prof. Dr. Wolfgang Greiner
Dr. Ulrike Götting

Dr. Antje Haas
Dr. Harald Herholz
Dr. Ulf Maywald
Dr. Heinz Riederer

Prof. Dr. Jörg Ruof
Dr. Sibylle Steiner
Prof. Dr. Bernhard Wörmann

DISKUSSIONSTEILNEHMER

Dr. Jürgen Bausch
Dr. Antje Behring
Dr. Johannes Bruns
Dr. Barbara Buchberger
RA Claus Burgardt
Dr. Martin Danner
Prof. Dr. Dr. Christian Dierks
Prof. Dr. Peter Falkai
Dr. Mathias Flume
Jan Geissler
Dr. Ulrike Götting
Prof. Dr. Wolfgang Greiner
Dr. Antje Haas

Melanie Hager
Dr. Susanne Hell
Michael Hennrich
Philipp Huwe
Sabine Jablonka
PD Dr. Stephan Lange
Elke Mathey
Dr. Ulf Maywald
Dr. Thomas Mittendorf
Silvia Petak-Opel
Dr. Hendrik Pügge
Anja Rettelbach
Dr. Cordula Riederer

Dr. Heinz Riederer
Prof. Dr. Jörg Ruof
Prof. Dr. Martin Scherer
Kordula Schulz-Asche
Prof. Dr. Thomas Seufferlein
Dr. Sibylle Steiner
Dr. Katharina Thiele
Prof. Dr. Andrew J. Ullmann
Wolfgang van den Bergh
Dr. Julia Wagle
Prof. Dr. Jürgen Wasem
Dr. Julian Witte
Prof. Dr. Bernhard Wörmann

IMPRESSUM**HERAUSGEBER**

Redaktionsbeirat der
Interdisziplinären Plattform:
Dr. Harald Herholz
Kassenärztliche Vereinigung Hessen
Europa-Allee 90
60486 Frankfurt am Main

VERLAG

Springer Medizin Verlag GmbH
Wolfgang van den Bergh,
Chefredakteur
Am Forsthaus Gravenbruch 5
63263 Neu-Isenburg
Handelsregister: Amtsgericht Berlin
Charlottenburg
HRB: 167094 B
Umsatzsteuer-ID: DE 230026696
Telefon: +49 6102 5060
Mail-Adresse: info@aerztezeitung.de

REDAKTIONELLE BEARBEITUNG

Dr. Florian Staeck
Wolfgang van den Bergh

AUTOREN

Prof. Dr. Erika Baum
Dr. Jürgen Bausch
Dr. Johannes Bruns
Dr. Martin Danner
Prof. Dr. Dr. Christian Dierks
Prof. Dr. Peter Falkai
Jan Geissler
Antanas Grimalauskas
Stefan Huber
Prof. Dr. Martin Scherer
Prof. Dr. Cornelius Schüle
Kordula Schulz-Asche
Prof. Dr. Thomas Seufferlein
Dorothee Streb
Prof. Dr. Andrew John Ullmann
Prof. Dr. Bernhard Wörmann

BILDNACHWEIS

Titelbild:
alotofpeople / stock.adobe.com

LAYOUT / GRAFIK

Sandra Bahr
Oliver Hippmann

DRUCK

F&W Druck- und Mediacenter GmbH
Holzhauser Feld 2, 83361 Kienberg
© Springer Medizin Verlag GmbH,
Berlin, September 2021

 Springer Medizin

ISSN 2364-91X

In Zusammenarbeit und mit
freundlicher Unterstützung der
AbbVie Deutschland GmbH & Co. KG,
DAK Gesundheit, MSD Sharp &
Dohme GmbH, Novo Nordisk Pharma
GmbH, Roche Pharma AG, Verband
Forschender Arzneimittelhersteller
e.V., Xcenda GmbH

INTERDISZIPLINÄRE PLATTFORM ZUR NUTZENBEWERTUNG

**Patienten und Fachgesellschaften:
Zusätzliche Expertise fürs AMNOG**

Ausgabe 13
Juli 2021
ISBN 2364-916X