



**GPMed Seminar
„Pharmaökonomie-
Grundlagen und praktische
Umsetzung“**

Dr. Evelyn Walter

18.10.2005

Inhalt der Präsentation

- ▶ Grundlagen zu ökonomischen Evaluationen
- ▶ Praktische Umsetzung
 - ⇒ Probleme bei der praktischen Umsetzung
 - » Datenlage
 - » Wahl der Perspektive
 - » Wahl der Vergleichsalternativen
 - » Messung des Patientennutzens (Outcomeindikator)
 - » Modellierung
- ▶ Schlussbemerkung



Grundlagen zu ökonomischen Evaluationen

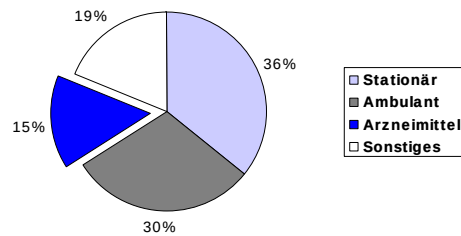
Ressourcenknappheit

- ▶ In der Gesundheitsökonomie findet sich der Konflikt zwischen Bedarf an Gesundheitsleistungen einerseits und deren ökonomische Realisierbarkeit andererseits (*kein funktionierender Markt*).
- ▶ Das Gesundheitswesen ist durch Ressourcenknappheit gekennzeichnet.
- ▶ Die knappen Ressourcen einer Volkswirtschaft
 - ⇒ stehen untereinander im Wettbewerb (Gesundheit, Bildung, Forschung etc.)
 - ⇒ müssen innerhalb des Gesundheitswesens bestmöglich verteilt werden (stationär, ambulant, Medikamente etc.)
 - ⇒ **müssen innerhalb eines Bereiches mit größtmöglichem Effekt eingesetzt werden**

Effizienzüberlegungen zwischen Gesundheitsbereichen

- ▶ Die Gesamtausgaben betragen 17.043 Mio. EUR im Jahr 2003
- ▶ Die größte Ausgabenposition ist mit 36% oder 6.131 Mio. EUR der stationäre Bereich.
- ▶ Im niedergelassenen Bereich wurden 5.071 Mio. EUR ausgegeben.
- ▶ Im Arzneimittelbereich 2.540 Mio. EUR.

Gesundheitsausgaben nach Bereichen



Quelle: Statistik Austria, eigene Berechnungen



Effektivitätsüberlegungen

- ▶ Effektivität ist das Maß für die Wirksamkeit bzw. den Grad der Zielerreichung. Effektivität misst die Qualität der Zielerreichung.
- ▶ Bei alternativen oder neuen Therapien ist eine Auswahl zu treffen:
 - ⇒ a) es ist aufgrund der Ressourcenknappheit nicht ausreichend, dass medizinische Maßnahmen allein eine bessere Wirksamkeit aufweisen
 - ⇒ b) diese müssen in einem angemessenen Verhältnis zu den zusätzlichen Kosten stehen
 - ⇒ **ausschlaggebend ist das Verhältnis der beiden Größen**
- ▶ **Diese Aufgaben sind mit gesundheits- bzw. pharmakoökonomischen Evaluationen in Angriff zu nehmen.**
- ▶ **Der gesundheits- bzw. pharmakoökonomischen Evaluation kommt in Österreich bis dato noch eine geringe Bedeutung zu.**
 - ⇒ In Länder wie z.B. FIN, SWE und den NL sind sie verpflichtend vorgeschrieben.
 - ⇒ In GB überprüft das Institut NICE die Kosteneffektivität der Behandlungen, die von NHS erstattet werden.

Definition der ökonomischen Evaluation

- ▶ Was sind gesundheits- bzw. pharmakoökonomische Evaluationen
 - ⇒ ein Spezialgebiet der Gesundheitsökonomie und beschäftigt sich mit der Evaluierung von Wirkung (Outcomes) und/oder Kosten (Inputs) medizinischer oder pharmazeutischer Maßnahmen.
 - ⇒ Eine gesundheits- oder pharmakoökonomische Untersuchung ist eine „vergleichende Analyse von alternativen Verfahren hinsichtlich ihrer Kosten und Konsequenzen“ (Drummond 1997).

Alternative Methoden

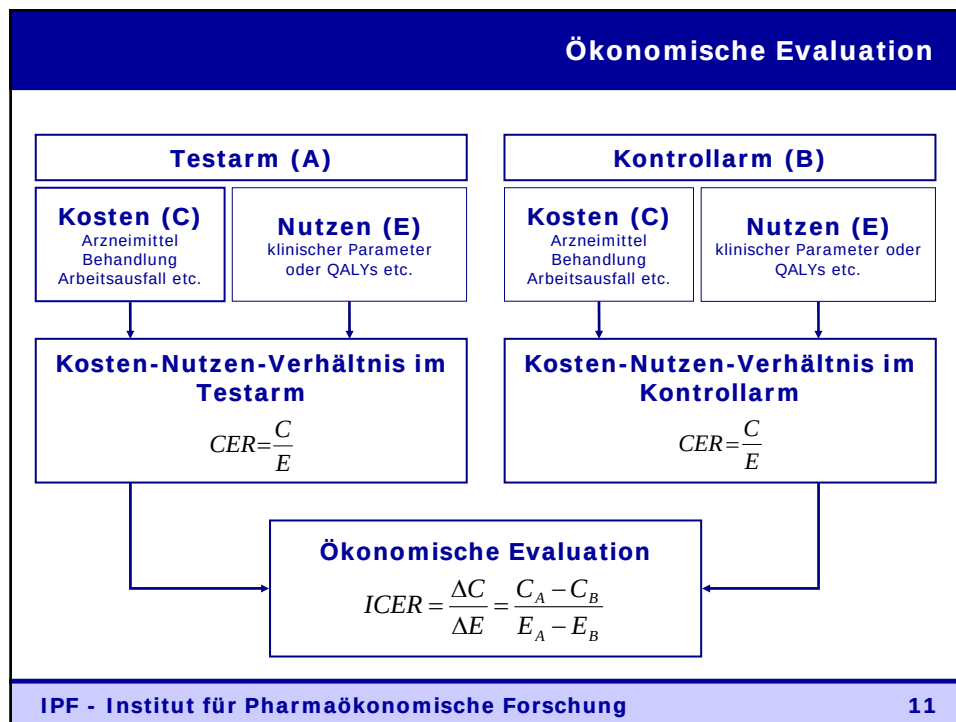
Methode	Input	Output
<i>Kosten-Minimierungs-Analyse</i>	Ressourcenverbrauch in Geldeinheiten	Ergebnisgleichheit der alternativen Outputs in klinischen Parametern
<i>Kosten-Nutzen-Analyse</i>	Ressourcenverbrauch in Geldeinheiten	Outputs in Geldeinheiten
<i>Kosten-Effektivitäts-Analyse</i>	Ressourcenverbrauch in Geldeinheiten	Outputs in klinischen Parametern
<i>Kosten-Nutzwert-Analyse</i>	Ressourcenverbrauch in Geldeinheiten	QALYs

Ressourcenverbrauch

- ▶ Die Gesundheitsökonomie definiert Kosten im volkswirtschaftlichen Sinne als bewerteten Verbrauch von Ressourcen.
- ▶ Folgende Kosten können erfasst werden:
 - ⇒ direkte Kosten (medizinische Kosten)
 - ⇒ indirekte Kosten (volkswirtschaftliche Kosten wie Arbeitsausfall)
 - ⇒ intangible Kosten (ohne objektivierbaren Geldwert
z.B. Schmerz, Lebensqualität)
- ▶ **Die ausgewählten Kosten müssen mit den betrachteten Outcomes in kausalem Zusammenhang stehen (unmittelbarer Ursachen-Wirkungs-Zusammenhang).**

Bewertung des Outcomes

- ▶ Outcomeparameter messen die Verbesserung der Mortalität und Morbidität einzelner Maßnahmen.
 - ⇒ Medizinische Daten (Endpunkte aus klinischen Studien)
 - » *finale Endpunkte*: z.B. Remissionsraten
 - » *intermediäre Endpunkte*: z.B. Responderaten
 - » *surrogate Endpunkte*: sind Biomarker mit hohem Vorhersagewert für einen harten klinischen Endpunkt
 - ⇒ Ökonomisch orientierte Outcomemaße
 - » z.B. Krankenhauspflegetage, Arbeitsunfähigkeitstage etc.
 - ⇒ Nutzenparameter
 - » Lebensqualitätsindikatoren aus validierten Messinstrumente zur Bewertung der Lebensqualität (z.B. HAQ, FFbH)
 - » QALYs
- ▶ **QALYs verbinden die Lebensqualität mit der Lebenszeit, d.h. der Nutzenwert entspricht dem Gesundheitszustand der Patientengruppe.**
 - ⇒ ein Jahr verbracht mit der Lebensqualität von 0,7 (zwischen 0=Tod und 1=Gesund) entspricht auch einer Menge von 0,7 QALYs
 - ⇒ **ERGEBNIS = KOSTEN pro QALY**







Praktische Umsetzung

Schritte zur Durchführung einer ökonomischen Analyse

- ▶ Zieldefinition der Untersuchung (Forschungsfrage)
- ▶ Festlegung des Indikationsgebietes
- ▶ Relevante Alternativen
- ▶ Wahl der Perspektive
- ▶ Wahl des Studiendesigns
- ▶ Wahl der Kosten (Menge x Preis/Erstattung/Pauschale)
- ▶ Wahl des Outcomes
- ▶ Zeithorizont der Betrachtung
- ▶ Design der Modellierung
- ▶ Überprüfung der getroffenen Annahmen im Rahmen einer Sensitivitätsanalyse

Probleme der praktischen Umsetzung

- ▶ Datenlage
- ▶ Wahl der Perspektive
- ▶ Wahl der Vergleichsalternativen
- ▶ Messung des Patientennutzens (Outcomeindikator)
- ▶ Modellierung

Datenlage (1)

- ▶ **Österreichspezifische Daten stehen nur eingeschränkt zur Verfügung!**
- ▶ Ganz allgemein muss bezüglich Datenherkunft eine Trennung zwischen epidemiologischen, Kosten- und Wirksamkeitsdaten vorgenommen werden.
- ▶ **Der Österreichbezug kann maximal für epidemiologische und Kostendaten gefordert werden.**
- ▶ Epidemiologische Daten:
 - ⇒ Bei vergleichbarer Epidemiologie müssen Daten eines anderen vergleichbaren Landes auf Österreich übertragbar sein
 - » muss auch für Studien zur Einreichung auf Erstattung akzeptiert werden!

Datenlage (2)

- ▶ **Kostendaten**
 - ⇒ Kostendaten sind für den niedergelassenen Bereich vorhanden (zwar nicht von allen Kassen).
 - ⇒ Der stationäre Bereich ist nur auf Basis der LKF-Pauschalen abzubilden.
 - » LKF basiert auf keiner Kostenrechnung und umfasst nur 60% der Spitalskosten (Anteil der Landesfondsmittel an den Gesamtkosten)
 - » Problem: wenn es für die Behandlung keine Pauschale gibt.
 - » Die Pauschale erfasst keinen Ressourcenaufwand und ist nicht geeignet Veränderungen des Pflegeaufwandes zu messen.
 - ⇒ Kosten in Spitalsambulanzen kaum vorhanden!
- ▶ **Wirksamkeitsdaten**
 - ⇒ Medizinische Daten aus klinischen Studien messen efficacy nicht effectiveness, d.h. die klinische Wirksamkeit unter kontrollierten Bedingungen.
 - ⇒ Nutzenwerte sind (retrospektiv) selten vorhanden
 - ⇒ Ökonomisch orientierte Outcomemaße sind (retrospektiv) selten vorhanden

Perspektive (1)

- ▶ **Der Hauptverband fordert für Studien zur Einreichung auf Erstattung die Perspektive der Krankenversicherung!**
- ▶ Die Perspektive der Krankenversicherung ist - aufgrund der Finanzierungsstruktur im Gesundheitswesen - nicht immer eindeutig zu quantifizieren, insbesondere dann, wenn stationäre Kosten anfallen.
 - ⇒ Die Krankenversicherung zahlt einen gedeckelten Beitrag zur Spitalsfinanzierung (= rund 65% der Landesfondsmittel oder rund 40% der gesamten Fondsspitalsfinanzierung).
 - ⇒ Für die einzelne Fallpauschale ist der Krankenkassenanteil nicht kalkulierbar.
- ▶ **Die Perspektive des Gesundheitswesens wäre der validere Ansatz, der alle direkten medizinischen Kosten einschließt! Die Krankenkassenperspektive sollte nur als Nebenrechnung dargestellt werden.**

Perspektive (2)

- ▶ **Der Großteil der Empfehlungen zur Erstellung pharmakoökonomischer Studien fordert die gesellschaftliche Perspektive! Dabei wird der gesamte, aus wirtschaftlicher Sicht relevante Ressourcenverbrauch berücksichtigt.**
- ▶ Die Wahl der Perspektive beeinflusst – abhängig vom Anteil der Kostenart – das Ergebnis, d.h. die dominante Strategie.
 - ⇒ Beispiel: Die Alternative die niedrigere medizinische Kosten mit höheren Arbeitsausfallskosten überkompensiert ist aus gesellschaftlicher Sicht nicht kosteneffektiv aus der Perspektive der Krankenversicherung ist sie es.

Wahl der Vergleichsalternativen (1)

- ▶ In der Praxis ist es nicht möglich alle Alternativen zu bewerten. Relevante Alternativen können sein:
 - ⇒ Standardtherapie
 - ⇒ die häufigste Therapie
 - ⇒ die kostengünstigste Therapie etc.
- ▶ **Die Standardtherapie ist nicht immer eindeutig ermittelbar!**
- ▶ Für die gewählten Vergleichsalternativen, müssen geeignete, d.h. ebenfalls vergleichbare klinische Daten gefunden werden. Folgende Möglichkeiten stehen zur Verfügung:
 - ⇒ Head-to-head Studien
 - ⇒ Meta-Analysen (gepoolte Daten mehrere klinischer Studien)
 - ⇒ Indirekter Vergleich

Wahl der Vergleichsalternativen (2)

- ▶ Studien, die für einen indirekten Vergleich herangezogen werden, müssen folgende Voraussetzung erfüllen:
 - ⇒ gleiche Studienlänge
 - ⇒ gleiche Studienendpunkte
 - ⇒ Vergleichbare Patientengruppe hinsichtlich
 - » Einschlusskriterien
 - » Ausschlusskriterien
- ▶ **Bei indirekten Vergleichen muss der Placebo-Arm der Studien angepasst werden, d.h. der Nettoeffekt des Therapiearms bei gleichem Placeboeffekt wird ermittelt.**

Messung des Patientennutzens (1)

- ▶ Klinische Outcomeparameter sind häufig ein valider Parameter zur Messung des Patientennutzens.
 - ⇒ Problem: kurzer Analysezeitraum der klinischen Studie. Ziel des pharmakoökonomischen Modells soll es sein den gesamten Versorgungspfad der gewählten Alternative abzubilden.
- ▶ **Der Patientennutzen lässt nicht immer mithilfe von klinische Outcomeparametern zeigen!**
- ▶ Die Aufnahme von Lebensqualitätsindikatoren spielt vor allem bei chronischen Erkrankungen, im onkologischen Bereich etc. eine zunehmende Bedeutung!
 - ⇒ Problem: Lebensqualität kann nur prospektiv erhoben werden! D.h. werden Nutzenwerte nicht bereits im Rahmen der klinischen Studien erhoben ist die Ermittlung allein für die Pharmakoökonomie sehr aufwendig/kostspielig.

Messung des Patientennutzens (2)

- ▶ Ökonomisch orientierte Outcomemaße (z.B. Krankenhauspflegetage, Arbeitsunfähigkeitstage etc.) sind selten dokumentiert:
 - ⇒ klinischen Studien
 - ⇒ müssen prospektiv im Rahmen von Anwendungsbeobachtungen ermittelt werden
 - ⇒ werden im Rahmen von Patientenbefragungen ermittelt

- ▶ Kurzzeitbetrachtungen können einfach an eine klinische Studie und deren Zeithorizont gebunden werden (Form Piggy-back Studien):
 - ⇒ Die Piggy-back Studie ist eine retrospektive Untersuchung
 - ⇒ Geeignet sind Phase III, IV-Studien und Anwendungsbeobachtungen
- ▶ **Langzeitbetrachtungen erfordern Modellrechnungen (z.B. in Fall von chronischen Krankheiten)!**
- ▶ Für die Durchführung einer Modellrechnung kommen zwei unterschiedliche Methodikansätze in Frage:
 - ⇒ Entscheidungsbaum
 - ⇒ Markov-Modell
- ▶ **Modelle, die für vergleichbare Gesundheitssysteme erstellt wurden, sind auf Österreich übertragbar!**
 - ⇒ muss auch für Studien zur Einreichung auf Erstattung gefordert werden!



Schlussbemerkung

- ▶ Eine allgemein gültige Regel des zu wählenden Studiendesigns gibt es nicht.
- ▶ Es gibt noch keine volle inhaltliche Übereinstimmung über die Anforderungen einer pharmakoökonomischen Analyse, d.h.
 - ⇒ **Es gibt keine allgemeine „good pharmacoeconomic practice“**
- ▶ Idealerweise sollten ökonomische Fragestellungen bereits am Beginn einer klinischen Prüfung mit berücksichtigt und interdisziplinär implementiert werden.

Herzlichen Dank
für Ihre
Aufmerksamkeit!