



Potenzialbewertung

Stefan Sauerland



Rahmenbedingungen der Bewertung

➤ Inhalte der Bewertung

- „Potenzial einer erforderlichen Behandlungsalternative“
- „Potenzial für eine Erprobung“

} Unterscheidung regelhaft
ohne praktische Konsequenz

➤ Zeitfenster für das IQWiG

- 6 Wochen

➤ Wahrung der Vertraulichkeit

- Spezielle Regelungen für Betriebs-/Geschäftsgeheimnisse
(§ 35 Satz 4 SGB V)

Transparenz der Bewertungsmethodik

- Kapitel 2.1.5 Verfahrensablauf (S. 28-29)
- Kapitel 3.8 „Potenzialbewertung“ (S. 69-71)
- Veröffentlichung tatsächlicher (positiver) Bewertungen, sobald Richtlinien des G-BA in Kraft treten

Allgemeine Methoden

Version 4.2 vom 22.04.2015

Schritt 1: Fragestellung

- Ziel: Festlegung der klinischen Fragestellung(en)
- Prüfung der im Antrag dargestellten PICO-Fragestellung
 - Eine oder mehrere separate Patientengruppen/Indikationen?
 - Prüfindervention klar definiert?
(Medizinprodukt ≠ Methode)
 - Vergleichsintervention entspricht aktuellem medizinischen Standard?
 - Erwarteter Nutzen patienten-relevant?
(Patientennutzen ≠ Anwendernutzen ≠ ökonomischer Vorteil)

Schritt 2: Recherche

- Ziel: Sicherstellung der Vollständigkeit der Recherchen
- Prüfung der im Antrag dargestellten Recherchen in bibliografischen Datenbanken und Studienregistern
 - Prüfung der Literatursuchstrategien auf grobe Mängel
 - Cursorische eigene Recherchen
 - Ggf. Prüfung der Relevanz von Studien, die im Antrag fehlen
- Nach Feststellung des Potenzials später ggf. Erstellung eines Addendums
 - Detaillierte Prüfung und ggf. Ergänzung der Literatursuchen
 - Aktualisierung der Datengrundlage

Schritt 3: Evidenz

- Ziel: Einschätzung der Validität der vorhandenen Evidenz
- Prüfung der im Antrag vorgenommenen Einordnung des Studientyps
 - Sind die Einordnung des Studientyps und die Einschätzung der Ergebnissicherheit nachvollziehbar?
 - Geringe Ergebnissicherheit: prospektive vergleichende Kohortenstudie mit Confounder-Kontrolle
 - Sehr geringe Ergebnissicherheit: Sonstige Vergleichsstudien
 - Minimale Ergebnissicherheit: Nicht-vergleichende Studien, z.B. Fallserien

Schritt 4: Ergebnisse

- Ziel: Sicherstellen einer vollständigen und korrekten Datengrundlage
- Prüfung der im Antrag berichteten Ergebnisse
 - Wurden zu wesentlichen patienten-relevanten Endpunkten die Ergebnisse vollständig und korrekt extrahiert?
 - Plausibilitätsprüfung der weiteren „aussagekräftigen Unterlagen“ (Abschnitt 1.6 des Antrags)

Schritt 5: Potenzial

- Ziel: Aussage zum Vorliegen eines Potenzial
- Bewertung des Potenzials auf Grundlage der zur Verfügung stehenden Unterlagen
 - Ist die Methode „unwirksam oder gar schädlich“?
 - Zeigen die Studien Effekte in einer Größenordnung, die nicht mehr primär durch Bias erklärt werden können?
 - Mindestens kleine Effekte bei geringer Ergebnissicherheit
 - Mindestens mittlere Effekte ($RR < 0,8$) bei sehr geringer Ergebnissicherheit
 - Große Effekte ($RR < 0,5$) bei minimaler Ergebnissicherheit
 - Berücksichtigung etablierter und plausibler Surrogatendpunkte
 - Bei diagnostischen Methoden separate Bewertung von Testgüte und therapeutischem Effekt

Schritt 6: Erprobungsstudie

- Ziel: Skizzierung einer möglichen Erprobungsstudie
- Bewertung von (oder eigener Vorschlag zu) den Eckpunkten einer Erprobungsstudie
 - Design: I.d.R. randomisiert-kontrollierte Studie
 - Passt die Studienfragestellung zu den vorhandenen Daten?
 - Welche patienten-relevanten Zielgrößen zu Nutzen und Schaden sind in welchem Zeitraum zu erheben?
 - Grobe Fallzahlschätzung und Machbarkeitsbewertung auf Basis der vorhandenen Daten
 - Grobe Kostenschätzung

Beispiele und Erfahrungen: Wann wird Potenzial bejaht?

- Vergleichende Studien zeigen Effekt in Surrogatendpunkt
- Indirekter Vergleich von Fallserien zeigt Unterschied
- Randomisiert-kontrollierte Pilotstudie liefert vielversprechende Kurzzeitergebnisse
- Therapie ist weniger invasiv und zeigt in vergleichenden Studien ähnlichen Nutzen
- Diagnostischer Test kann offenbar mit hoher Testgüte Behandlungsnotwendigkeit ausschließen
- Diagnostischer Test ist weniger invasiv und zeigt mindestens ähnlich hohe Testgüte

Beispiele und Erfahrungen: Wann wird Potenzial verneint?

- Diagnostischer Test befindet sich noch in Entwicklung
- Therapeutische Konsequenz aus diagnostischem Testergebnis unklar
- Behandlungsstrategie (Screening + Therapie) bislang in keiner einzigen Studie untersucht
- Einzige Studie zur Fragestellung fand keinen Vorteil
- Vorgelegte Evidenz bezieht sich auf andere Indikation
- Grundsätzliche Therapiewirksamkeit (bei geringerer Invasivität) fraglich

Beispiele und Erfahrungen: Tipps für Antragsteller

- Präzise und einheitliche Beschreibung der Fragestellung und des erwarteten Nutzens
- Abgrenzung zu Konkurrenzprodukten/-methoden
- Fokussierte und gut dokumentierte Literatursuchen
- Darstellung der bestverfügbaren Evidenzstufe(n), z. B.:
 - Verzicht auf Fallserien sofern vergleichende Studien verfügbar
 - Meta-Analyse statt Einzelstudien
- Keine Darstellung von Studien zu anderen Fragen
- Verzicht auf lange grundlagenwissenschaftliche Herleitungen

Zusammenfassung

- Bei der Potenzialbewertung gelten im Vergleich zur Nutzenbewertung deutlich niedrigere Evidenzanforderungen.
- Die Arbeit des IQWiG bezieht sich auf die Prüfung (nicht die Nachbesserung und Ergänzung) der Antragsinhalte, -außer bei den Eckpunkten der Erprobungsstudie.
- Gemeinsames Ziel ist es, durch gut geplante Studien den Nutzen neuer Behandlungsverfahren evaluieren zu können.

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG)

Am Mediapark 8
D-50670 Cologne
Germany

Phone +49-221/3 56 85-359

Fax +49-221/3 56 85-1

stefan.sauerland@iqwig.de

www.iqwig.de

