

Jahresbericht 2021



Inhalt

MEILENSTEINE

Evidenzbasierte Medizin – Hoffnung auf eine neue Ära	1
Ärztliche Zweitmeinung: IQWiG schlägt 15 weitere Eingriffsarten vor	3
Externer Sachverstand aus Klinik und Praxis gesucht!	6
Orphan Drugs: Privileg des „fiktiven“ Zusatznutzens nicht gerechtfertigt.	7
Methodenpapier 6.1: Neuer Auftrag erforderte neue Version	9
Zeit für Kosten-Nutzen-Bewertungen? Und falls ja: Wie?	12
Noch eine große Lücke zwischen Theorie und Praxis	16
EUnetHTA 21 erarbeitet die Zukunft des europäischen HTA	17
Fünf Jahre ThemenCheck Medizin: Zahl der Themen-Einreichungen wächst	19
Gesundheitsinformationen: Unterstützung für besondere Gruppen	22
Hochrisiko-Medizinprodukte: § 137h-Bewertung braucht erneute Reform	24
Meldungen	27

DAS INSTITUT

Das IQWiG in den Medien: Wer sagte was?	34
Wissenschaftlich unabhängig.	36
Die Ressorts und Stabsbereiche	38
Mitarbeit in wissenschaftlichen Gremien und Gutachtertätigkeiten	48
Auf einen Blick	50
IQWiG-Chronik	52

Zur digitalen
Kurzversion des
Jahresberichts 2021



Zum Blätter-PDF des
Jahresberichts 2021



Evidenzbasierte Medizin – Hoffnung auf eine neue Ära

Die Gesundheitspolitik der neuen Bundesregierung will sich mehr an einer evidenzbasierten Medizin orientieren. Ziel muss es sein, vor Einführung einer Intervention ausreichende Evidenz zu schaffen. Von Jürgen Windeler.



Was für ein Auftakt in die neue Legislatur! „Die Gesundheitspolitik kann aus meiner Sicht nur erfolgreich sein, wenn sie sich an der evidenzbasierten Medizin orientiert“, lautete einer der ersten öffentlichen Sätze des neuen Bundesgesundheitsministers nach seiner Amtsübernahme. Nachdem die evidenzbasierte Medizin (EbM) in der Ära Jens Spahn wenig Wertschätzung erfahren hatte, übernahm mit Karl Lauterbach im Dezember 2021 ein Vorreiter der EbM in Deutschland die Amtsgeschäfte. Schon die Gründung des IQWiG im Jahr 2004, dessen Nutzenbewertungen sich qua Gesetz nach den Regeln der evidenzbasierten Medizin richten sollen, ging nach eigener Aussage auf eine Idee des neuen Ministers zurück. Das war nicht seine schlechteste Idee, möchte man meinen...

Eine Reihe von Baustellen

Und für mehr Orientierung an EbM gibt es eine Reihe von Baustellen. Sinnvoll wäre es beispielsweise im AMNOG, der frühen Nutzenbewertung von Arzneimitteln, das Privileg des „fiktiven“ Zusatznutzens für Orphan Drugs abzuschaffen: Auch diese Arzneimittel gegen seltene Krankheiten sollten nach Marktzugang anhand vergleichender Studien belegen müssen, dass sie einen Zusatznutzen besitzen. Denn in der Realität zeigt sich für die meisten Orphans, dass das Privileg im Nachhinein nicht gerechtfertigt war, wie Auswertungen des IQWiG belegen (siehe Seite 7). Nicht nur hier braucht es

einfach stärkere Anreize für die Hersteller, frühzeitig gute Studien aufzusetzen und brauchbare Daten zu sammeln – für die Zulassung und für die Nutzenbewertung. Sollte für die Entwicklung von Orphans finanzielle Unterstützung erforderlich sein, so ist jedenfalls der Verzicht auf die Bewertung ihres Zusatznutzens der falsche Weg.

Noch in den Kinderschuhen befindet sich die anwendungsbegleitende Datenerhebung (AbD) bei neuen Arzneimitteln. Entsprechend treten behandlungsbedürftige Kinderkrankheiten zu Tage. Worum geht's? Sind die Studiendaten zum Zeitpunkt der Zulassung eines neuen Arzneimittels nur wenig aussagekräftig für die Bewertung eines Zusatznutzens, so kann der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) seit 2020 vom Hersteller in bestimmten Fällen verlangen, „anwendungsbegleitend“ Daten zu sammeln und so nachträglich Evidenz zu generieren. Eine gute Idee! Die jetzt gemachten ersten Erfahrungen mit dem neuen Instrument zeigen allerdings, wie schwer es ist, auf diesem Weg Evidenzlücken zu schließen. Aussagekräftige Vergleiche zwischen den verschiedenen Interventionen zu kreieren, wenn diese in der Versorgung ungesteuert eingesetzt werden können, erweist sich als große Herausforderung. Zur Erinnerung: AbDs sind qua Gesetz als Studien ohne Randomisierung durchzuführen. Aus der fehlenden Randomisierung entstehen aber besondere Anforderungen an die Datenerhebung, um etwaige Risikounterschiede in den Vergleichspopulationen zu erkennen. Wer geglaubt hat, rein beobachtende Registerstudien brächten mit weniger Aufwand

vergleichbare Ergebnisse wie randomisierte, der wird nun – wieder einmal – eines Besseren belehrt.

Nachbesserungsbedürftig sind auch einige ebenfalls noch recht neue Regelungen zur Bewertung von Methoden mit Medizinprodukten hoher Risikoklasse nach §137h SGB V. Sind hier eindeutige Aussagen zu Nutzen und Schaden der neuen Methode nicht möglich – was wegen der geringen Fallzahlen sehr häufig der Fall ist –, so ist der G-BA verpflichtet, eine Erprobungsstudie zu konzipieren und zu finanzieren. Das Rekrutieren von Probanden und Probandinnen für solche Studien wird aber dadurch erschwert, dass die neuen Behandlungsmethoden auch außerhalb der Erprobungsstudien zur Verfügung stehen. Damit besteht kein Anreiz für Kliniken, sich an den Studien zu beteiligen. Vielmehr wird die neue Methode von den interessierten Kliniken breit eingesetzt und womöglich sogar beworben. In der Vergleichsgruppe fehlen dann die Probanden. Aussagekräftige Studienergebnisse zu erzielen, ist so kaum möglich (siehe Seite 24) – aber andererseits dringend erforderlich, wenn man sich den teilweise äußerst begrenzten Kenntnisstand zu diesen Methoden vor Augen führt.

An allen diesen und weiteren Stellen wird deutlich, dass es ein sinnvoller, effizienter und dem wohl verstandenen Patienteninteresse dienlicher Weg ist, ausreichende Evidenz vor Einführung einer Intervention ins System zu schaffen.

Impulse gegeben

Im Auftrag des G-BA hat das IQWiG im Berichtsjahr 15 therapeutische Eingriffe und diagnostische Maßnahmen identifiziert, bei denen Patientinnen und Patienten besonders von einem Zweitmeinungsverfahren profitieren könnten (siehe Seite 3). Dass die zuständige Arbeitsgruppe im G-BA entschieden hat, zu diesen 15 Prozeduren Entscheidungshilfen auf den Weg zu bringen, ist sicher eine Bestätigung für die gute Vorarbeit der IQWiG-Projektgruppe.

Gefreut hat uns ebenfalls, dass das Konsortium EUnetHTA 21 von der EU-Kommission den Zuschlag dafür erhalten hat, die gemeinsame Nutzenbewertung von Arzneimitteln und Medizinprodukten in der Europäischen Union ab 2025 methodisch vorzubereiten (siehe Seite 17). IQWiG und G-BA sind Teil dieses EUnetHTA-Konsortiums und gestalten somit die Zukunft der europäischen Bewertung in diesen Monaten und Jahren entscheidend mit. Dabei geht es darum, die hohen Standards in Deutschland auch auf europäischer Ebene zu verankern.

Insgesamt trägt das Institut auf verschiedenen Ebenen engagiert dazu bei, dass sich Gesundheitspolitik an einer evidenzbasierten Medizin orientieren kann. Dazu gehören sowohl praktisch umsetzbare Bewertungsergebnisse (vorrangig für den G-BA) und methodische Weiterentwicklungen als auch Hinweise auf sinnvolle Verbesserungen und Anpassungen des gesetzlichen Regelwerks. Wir sind neugierig, wie die Ankündigungen der neuen Regierung ausgestaltet werden und beteiligen uns gerne. Gute Evidenz ist die Basis guter Versorgung.

IQWiG

Institutsleitung

Ärztliche Zweitmeinung:

IQWiG schlägt 15 weitere Eingriffsarten vor

Gesetzlich Versicherte haben seit 2015 einen rechtlichen Anspruch, eine ärztliche Zweitmeinung einzuholen, wenn sie vor der Entscheidung stehen, ob sie einen planbaren Eingriff durchführen sollen oder nicht.

Seit vielen Jahren wird für Industrienationen eine mögliche Überversorgung von Patientinnen und Patienten mit medizinischen Leistungen diskutiert. Dabei geht es auch um die Frage, ob alle Maßnahmen, die Ärztinnen und Ärzte empfehlen, aus medizinischer Sicht notwendig sind und wo Ermessensspielräume bestehen. Die Situation könnte sich unter anderem dadurch verbessern, wenn Patientinnen und Patienten stärker in sie betreffende medizinische Entscheidungen eingebunden werden. Sind Betroffene umfangreich informiert, kann dies die Fähigkeit fördern, notwendige von nicht notwendigen Gesundheitsleistungen zu unterscheiden.

Gesetzlicher Anspruch auf Zweitmeinung

Vor diesem Hintergrund hat der deutsche Gesetzgeber 2015 einen wegweisenden Schritt getan: Mit dem GKV-Versorgungsstärkungsgesetz verankerte er den Anspruch auf Einholung einer ärztlichen Zweitmeinung für gesetzlich Krankenversicherte in das Sozialgesetzbuch V. Mandeloperationen und die operative Gebärmutterentfernung waren 2018 die ersten Interventionen, die in die Zweitmeinungs-Richtlinie des G-BA aufgenommen wurden. 2019 folgte die Schulterarthroskopie, 2020 die Knie-Totalendoprothese. 2021 kamen Eingriffe an der Wirbelsäule und die Amputation beim diabetischen Fußsyndrom hinzu.

Eingriff/ Eingriffsgruppe	Zweitmeinung möglich seit wann?
Mandeloperationen	2018
operative Gebärmutterentfernung	2018
Schulterarthroskopie	2019
Knie-Totalendoprothese	2020
Eingriffe an der Wirbelsäule	2021
diabetisches Fußsyndrom	2021

Jürgen Windeler,
Institutsleiter



„Auch wenn noch weiterer Klärungsbedarf besteht, bilden die Projektergebnisse eine solide Grundlage für weitere Auswahl Diskussionen im Gemeinsamen Bundesausschuss.“

Ausweitung des Verfahrens

Der Anspruch auf Einholung einer Zweitmeinung soll noch auf weitere Eingriffe ausgeweitet werden. Deshalb beauftragte der G-BA das IQWiG damit, therapeutische Eingriffe oder diagnostische Maßnahmen zu identifizieren, die für eine Aufnahme in die Zweitmeinungs-Richtlinie des G-BA infrage kommen.

Das IQWiG identifizierte 15 therapeutische Eingriffe sowie diagnostische Maßnahmen, bei denen Patientinnen und Patienten von einem Zweitmeinungsverfahren besonders profitieren könnten, darunter kardiologische, kardiochirurgische sowie gefäßchirurgische Eingriffe und Untersuchungen. Des Weiteren sind HNO-Eingriffe, abdominal-chirurgische Operationen, Prostataktomien bei unterschiedlicher Indikation und der Hüftgelenkersatz bei Coxarthrose Teil der Empfehlung.

Für Zweitmeinungsverfahren empfohlen

Eingriff oder diagnostische Maßnahme	Erläuterungen
Herzkatheter-Untersuchung	
Myokardperfusionsbildgebung	radiologische Herzdurchblutungsdiagnostik
Myringotomie	Trommelfellschnitt (zur Einlage eines Paukenröhrchens)
Nasenoperationen	Operationen an unterer Nasenmuschel, submuköse Resektion und plastische Rekonstruktion des Nasenseptums (Nasenscheidwandoperationen)
Herzklappenersatz	
Koronararterien-Bypassoperation (CABG)	operative Anlage von Umgehungsgefäßen bei Verengung der Herzkranzarterien
Implantation eines Defibrillators/Herzschritmachers	
Endarteriektomie	Arterienausschälung
Aortenaneurysma-Eingriffe	
bariatrische Chirurgie	z. B. operative Magenverkleinerung bei ausgeprägter Adipositas
Cholezystektomie	Entfernung der Gallenblase
Prostatektomie	benigne und maligne Erkrankungen der Prostata
Hüftgelenkersatz	
elektrophysiologische Untersuchung und Ablation am Herzen	Untersuchung und Verödung übererregbaren Herzgewebes
perkutane Koronarintervention (PCI)	kathetergestützte Eingriffe zur Durchblutungsverbesserung in verengten Herzkranzarterien

Mengenentwicklung bei planbaren Eingriffen

Laut Gesetz (Sozialgesetzbuch V §27b) zielt das Zweitmeinungsverfahren auf elektive, also planbare Eingriffe, bei denen „insbesondere im Hinblick auf die zahlenmäßige Entwicklung ihrer Durchführung die Gefahr einer Indikationsausweitung nicht auszuschließen ist“. Bei der Auswahl geeigneter Eingriffe für das Zweitmeinungsverfahren spielten daher die Mengenentwicklung und die regionale Praxisvariation in Deutschland sowie internationale Erfahrungen eine wichtige Rolle.

In einer nationalen und internationalen Literaturrecherche identifizierte das IQWiG Prozeduren und Eingriffe, bei denen eine mögliche Überversorgung besonders intensiv diskutiert wird. Der so gewonnene Pool an elektiven Eingriffen diente den Wissenschaftlerinnen und Wissenschaftlern anschließend als Ausgangsbasis für eigene empirische Analysen nach den folgenden Kriterien:

- Eingriffshäufigkeit
- Mengendynamik
- regionale Variation
- Planbarkeit / Elektivität

Die Auswertung und Kombination dieser Kriterien zeigte für die 15 Eingriffe und Eingriffsgruppen die deutlichsten Hinweise darauf, dass ein Zweitmeinungsverfahren für Patientinnen und Patienten eine Entscheidungsunterstützung bieten könnte.

Datenauswertung notgedrungen beschränkt auf stationäre Leistungen

Für die Erstellung des Rapid Reports waren – anders als für die ausgewertete Fachliteratur – kurzfristig nur empirische Daten für die stationäre Versorgung aus der Gesundheitsberichterstattung des Bundes verfügbar. Ein vollständiges Abbild der Versorgungssituation ergäbe sich für einige Eingriffe aber nur mit dem Einbezug der ambulanten Leistungserbringung durch niedergelassene Ärztinnen und Ärzte/Operateure.

Entscheidungshilfe vonnöten

Mit der PCI und der CABG (siehe Tabelle Seite 4) sind zwei gegebenenfalls alternative und unterschiedlich invasive Therapieoptionen bei Herzkranzgefäßverengungen in der Auswahl enthalten, die in einem Zweitmeinungsverfahren fallweise gegeneinander abzuwägen und in einer Entscheidungshilfe für Patientinnen und Patienten entsprechend darzustellen wären. Dies betonen die Autorinnen und Autoren des Berichts. Das Gleiche gelte für den Fall einer Erstdiagnostik einer stabilen chronischen koronaren Herzkrankheit (KHK), wo die noch überwiegend angewendete Herzkatheter-Untersuchung gegen eine weniger invasive Bildgebungsdiagnostik mit CT- und MRT-gestützten Prozeduren (Myokardperfusionsbildgebung) abzuwägen sei.

Keine Nutzenbewertung

Eine differenzierte Nutzenbewertung der einzelnen für das Zweitmeinungsverfahren vorgeschlagenen Eingriffe und Prozeduren war im Rahmen dieses Projekts nicht möglich. Allerdings hat das Projektteam systematische Übersichten und evidenzbasierte Leitlinien recherchiert, die in vielen Fällen bei den zumeist schon länger angewendeten diagnostischen und therapeutischen Eingriffen und Prozeduren beurteilen ließen, wie gut belegt deren Nutzen ist.

🌐 WEBTIPP

Zum Rapid Report (V20-01) „Auswahl von Eingriffen für das Zweitmeinungsverfahren nach §27b SGB V“
IQWiG.de > Projekte & Ergebnisse > V20-01 (ins Suchfeld eingeben)



Externer Sachverstand

aus Klinik und Praxis gesucht!

80 Interessierte verfolgten per Livestream die Informationsveranstaltung des IQWiG zum Thema externe Sachverständige.

Mehr als die Hälfte meldete sich sodann im Sachverständigenpool des IQWiG an und bereicherte ihn durch ihren Eintrag um ihre Expertise. „Damit war für uns die Veranstaltung Ende Juni 2021 ein großer Erfolg“, erklärt Stefan Lange, stellvertretender Institutsleiter im Rückblick. „Der Blick von außen ist im IQWiG hochgeschätzt. Deshalb kooperieren wir bei der Erstellung unserer Berichte und Gesundheitsinformationen standardmäßig mit Ärztinnen und Ärzten aus Klinik und Praxis sowie mit Gesundheitsfachpersonal aller Fachrichtungen.“

Fachwissen einbringen

Da wegen der kurzen Bearbeitungszeiträume die Projektteams oft sehr kurzfristig nach Sachverständigen für sehr spezielle Fragen suchen, benötigt das IQWiG einen möglichst großen und vielseitigen Sachverständigenpool. So wirbt es stetig um weitere externe Fachexpertise.

Mehrere Arten der Beratung

Auf vielfältige Weisen begleiten externe Sachverständige die Instituts-Projekte. So beantworten sie konkrete Fragen zu Indikationen, Therapien und zum Versorgungsalltag für Dossierbewertungen von Arzneimitteln, zu Potenzialbewertungen von neuen nicht medikamentösen Verfahren sowie zu Bewertungen von neuen Untersuchungs- und Behandlungsmethoden mit Medizinprodukten hoher Risikoklasse. Oder sie bewerten medizinisch-fachlich die Gesundheitsinformationen des Instituts. Schließlich begutachten sie IQWiG-Berichte oder diskutieren offene Fragen zu Nutzenbewertungen von Arzneimitteln und nicht medikamentösen Verfahren, beschreiben Versorgungsstandards für Leitliniensynopsen oder erstellen HTA-Berichte im Rahmen des ThemenCheck Medizin.

WEBTIPP

Weitere umfangreiche Informationen bietet die IQWiG-Website: [IQWiG.de](https://www.iqwig.de) > *Fachwissen einbringen* > *sich einbringen*



Orphan Drugs: Privileg des „fiktiven“ Zusatznutzens nicht gerechtfertigt

Auch Arzneimittel gegen seltene Leiden sollten bei Markteintritt ein reguläres Nutzenbewertungsverfahren durchlaufen. Dies zeigt eine IQWiG-Auswertung.

In Deutschland müssen Arzneimittel gegen seltene Leiden (Orphan Drugs) nicht das reguläre Nutzenbewertungsverfahren durchlaufen. Mithilfe dieser Ausnahmeregelung soll die Entwicklung von Orphan Drugs trotz marktwirtschaftlicher Risiken gefördert werden. So wird für Orphan Drugs bereits nach Zulassung auf europäischer Ebene und dem darauffolgenden Marktzugang ein Zusatznutzen als belegt angenommen (§ 35a SGB V) – unabhängig von der tatsächlichen Datenlage.

„Fiktiver“ Zusatznutzen

Erst wenn das Arzneimittel einen Jahresumsatz von 50 Millionen Euro überschreitet, erfolgt eine reguläre Nutzenbewertung durch IQWiG und G-BA. Zuvor kann der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) den qua Gesetz als belegt anzusehenden Zusatznutzen lediglich anhand der vom Hersteller vorgelegten Evidenz quantifizieren. Ist keine Einordnung in die Kategorien „gering“, „beträchtlich“ oder „erheblich“ möglich, muss er dem Wirkstoff einen „nicht quantifizierbaren“ Zusatznutzen attestieren, was verschiedentlich als „fiktiver“ Zusatznutzen bezeichnet wurde.

50-Millionen-Euro-Umsatzschwelle

Für alle Orphan Drugs, die seit Inkrafttreten der Regelung im Jahr 2011 wegen Überschreitung der 50-Millionen-Euro-Umsatzschwelle ein reguläres Nutzenbewertungsverfahren durchlaufen haben, hat das IQWiG nun ausgewertet, ob der „fiktive“ Zusatznutzen bei der regulären Nutzenbewertung noch Bestand hatte und ob eine Bevorzugung bei der Nutzenbewertung daher berechtigt war.

Thomas Kaiser,
Leiter des Ressorts
Arzneimittelbewertung

„

„Das Orphan-Drug-Privileg hat negative Folgen für die Qualität der Patientenversorgung. Neue Arzneimittel werden in diesen Fällen ohne Datengrundlage bevorzugt gegenüber bewährten Therapieoptionen eingesetzt. Allgemein kann aufgrund des Privilegs nicht zwischen Orphan Drugs mit und ohne echten Fortschritt für die Patientenversorgung unterschieden werden. Ein wesentliches Ziel des AMNOG, nämlich die Spreu vom Weizen zu trennen, wird so bei den Orphan Drugs nicht erreicht.“

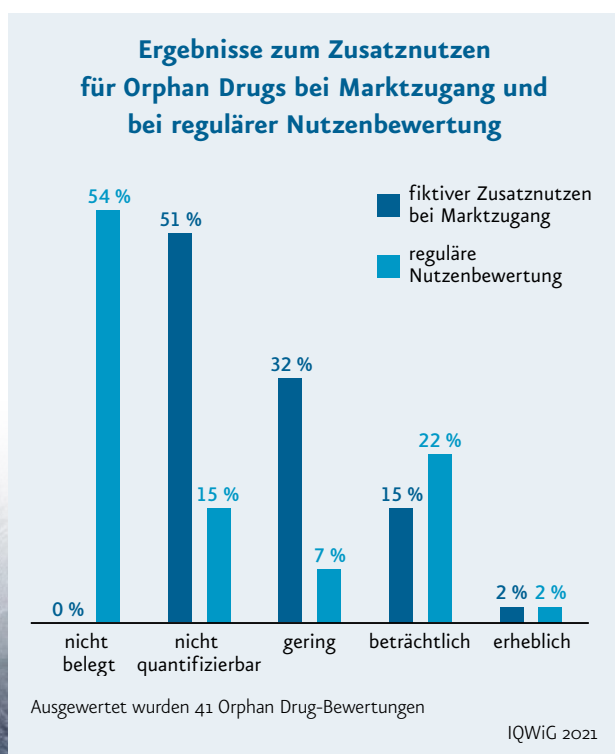
Keine Überlegenheit gegenüber vorhandenen Therapieoptionen

Ergebnis: Die Feststellung eines „fiktiven“ Zusatznutzens bei Marktzugang von Orphan Drugs wurde in mehr als der Hälfte der Fälle nicht bestätigt. Maßgeblich war dabei in der Regel, dass erst in der regulären Nutzenbewertung eine zweckmäßige Vergleichstherapie als Vergleich herangezogen wurde, also erst hier ein Zusatznutzen im eigentlichen Sinne bewertet werden konnte.

Kein Zusatznutzen in der regulären Nutzenbewertung in 54 Prozent der Fälle

Das IQWiG hat für seine aktuelle Analyse 41 Orphan-Drug-Bewertungen identifiziert, für die seit 2011 sowohl eine spezielle Orphan-Bewertung als auch eine nachfolgende reguläre Nutzenbewertung erfolgte. Diese 41 Bewertungen verteilen sich auf 20 verschiedene Orphan-Drug-Wirkstoffe, da einige dieser Arzneimittel für mehrere Anwendungsgebiete zugelassen wurden. Die Auswertung zeigt, dass bei 22 der 41 Bewertungen (54 %) in der regulären Nutzenbewertung kein Zusatznutzen („nicht belegt“) festgestellt werden konnte.

In den eingeschränkten Bewertungen bei Marktzugang wurde hingegen, den gesetzlichen Vorgaben folgend, bei allen 41 Bewertungen ein fiktiver Zusatznutzen konstatiert. Dabei war auch hier in mehr als der Hälfte der Fälle (21 Bewertungen, 51 %) der Zusatznutzen „nicht quantifizierbar“ (siehe Grafik).



Weiterführende Auswertungen des IQWiG zeigen zudem, dass die Einstufung des Zusatznutzens in der Regel erst nach Jahren korrigiert wird: Bei den 22 Fragestellungen ohne Nachweis eines Zusatznutzens lag der Zeitraum zwischen der eingeschränkten und der regulären Nutzenbewertung im Mittel bei gut drei Jahren (mindestens ein Jahr und bis zu neun Jahre). Teilweise wird die Einstufung des Zusatznutzens jedoch auch gar nicht korrigiert: Dies ist der Fall, wenn für das Orphan Drug die Umsatzschwelle von 50 Millionen Euro nicht überschritten und eine reguläre Nutzenbewertung daher nicht durchgeführt wird.

Fehlsteuerung bei Orphan Drugs beenden

Die Fehlsteuerung bei den Orphan Drugs hat nicht nur Auswirkungen auf die Patientenversorgung, sondern auch auf die Arzneimittelausgaben der Krankenkassen. Denn Orphan Drugs für sehr spezielle Krebsarten sind laut „Arzneimittel-Kompass 2021“ des Wissenschaftlichen Instituts der AOK wesentliche Kostentreiber in der gesetzlichen Krankenversicherung. Für Orphan Drugs mit einem echten Fortschritt für die Patientenversorgung mögen die hohen Preise berechtigt sein – für jene ohne Zusatznutzen aber nicht. „Die sorgfältige Differenzierung ist also aus mehreren Gründen sinnvoll und überfällig“, betont Institutsleiter Jürgen Windeler.

WEBTIPPS

Zum Arbeitspapier „Evidenz zu Orphan Drugs“
[IQWiG.de > Projekte & Ergebnisse > Projektnummer GA21-01](https://www.iqwig.de/de/projekte-ergebnisse/projektnummer/GA21-01) im Suchfeld eingeben

Näheres auch im Arzneimittel-Kompass des Wissenschaftlichen Instituts der AOK (WIdO) unter diesem Link:
[wido.de > Publikationen > Buchreihen > Arzneimittel-Kompass > 2021 > Hochpreisige Arzneimittel](https://www.wido.de/de/publikationen/buchreihen/arzneimittel-kompass/2021/hochpreisige-arzneimittel)

Methodenpapier 6.1: Neuer Auftrag erforderte neue Version

**Das IQWiG hat seine Allgemeinen Methoden auf die Version 6.1 aktualisiert.
Unter anderem machte ein neuer gesetzlicher Auftrag dies nötig:
das Erstellen von Evidenzrecherchen für medizinische Leitlinien.**

Seit 2020 kann die Arbeitsgemeinschaft der Wissenschaftlichen Medizinischen Fachgesellschaften (AWMF) dem Bundesgesundheitsministerium medizinische Leitlinien vorschlagen, deren Entwicklung oder Aktualisierung das IQWiG sodann im Auftrag des Ministeriums mit Evidenzrecherchen unterstützt. Die für diesen neuen gesetzlichen Auftrag notwendigen methodischen Ergänzungen waren eine Ursache, warum das IQWiG sein Methodenpapier auf die Version 6.1 aktualisierte. Die Änderungen zu dem aus diesem neuen gesetzlichen Auftrag resultierenden IQWiG-Produkt „Evidenzberichte“ betreffen einige Abschnitte in den Kapiteln 1, 2 und 5.

Seit Januar 2022 gültig

Im Januar 2022 veröffentlichte das IQWiG die Version 6.1 auf seiner Website. Seitdem ist das Dokument Grundlage für die wissenschaftliche Arbeit des Instituts und seiner externen Sachverständigen sowie für die Kooperation mit den Auftraggebern. Neu sind neben den Ergänzungen zur Evidenzrecherche für medizinische Leitlinien ebenso eine Methode zur Ausmaßbestimmung bei stetigen Daten. Außerdem stützt sich das Institut jetzt auf das neue Konzept der konkludenten Effekte.

Schwellenwerte zur Ausmaßbestimmung bei stetigen Daten

Zur Bestimmung des Ausmaßes des Zusatznutzens neuer Arzneimittel in der frühen Nutzenbewertung hat das Institut in Abschnitt 3.3.3 seinen Ansatz auf stetige Daten erweitert. Die Schwellenwerte für standardisierte Mittelwertdifferenzen (SMD) orientieren sich dabei an der üblichen Einteilung von Cohen in kleine Effekte (SMD zwischen 0,2 und 0,5), mittlere Effekte (SMD zwischen 0,5 und 0,8) und große Effekte (SMD größer als 0,8).

Das Methodenpapier

Die Allgemeinen Methoden des IQWiG, kurz auch Methodenpapier genannt, beschreiben die wissenschaftlichen Standards des IQWiG. Um die Weiterentwicklung von Standards in den wissenschaftlichen Disziplinen und erweiterte gesetzliche Aufgaben des Instituts abzubilden, wird das Methodenpapier stetig aktualisiert – teils in kleineren, teils in größeren Schritten –, woraus dann neue Versionsnummern resultieren.

Was ist neu in Version 6.1?

- Ergänzungen zur Evidenzrecherche für medizinische Leitlinien
- Methode zur Ausmaßbestimmung bei stetigen Daten
- Konzept der konkludenten Effekte

Sowohl für schwerwiegende als auch für nicht schwerwiegende Symptome gilt die bekannte Irrelevanzschwelle von $SMD = 0,2$ als Schwellenwert für einen geringen Zusatznutzen. Für die Ausmaßkategorien „beträchtlich“ und „erheblich“ bei schwerwiegenden Symptomen und für die Ausmaßkategorie „beträchtlich“ bei nicht schwerwiegenden Symptomen hat das Institut neue Schwellenwerte festgelegt.

Anwendung des neuen Konzepts von konkludenten Effekten

Für die qualitative Zusammenfassung von Studienergebnissen legt das Institut in Abschnitt 3.1.4 ein neues Vorgehen für die qualitative Zusammenfassung von Studienergebnissen mithilfe des Konzepts von konkludenten Effekten fest. Konkludente

Effekte liegen vor, wenn die Daten es erlauben, einen Effekt im Sinne der Fragestellung abzuleiten, obwohl eine gemeinsame Effektschätzung über alle Studien hinweg nicht sinnvoll möglich ist. In heterogenen Datensituationen entspricht das dem bewährten Konzept von gleichgerichteten Effekten. Das neue Konzept von konkludenten Effekten ist aber auch in homogenen Datensituationen anwendbar.

Patientenberichtete Endpunkte: 15-Prozent-Schwelle ist tauglich

Im November 2020 hatte das Institut eine 15-Prozent-Schwelle für die Anerkennung von Responderanalysen in der frühen Nutzenbewertung von Arzneimitteln festgelegt.

Die Festschreibung der 15-Prozent-Grenze für die Anerkennung von Responderanalysen in IQWiG-Bewertungen hatte im Vorfeld Diskussionen ausgelöst. Unter anderem befürchteten manche Hersteller, dass dieses Vorgehen nicht auf alle Skalen anwendbar wäre, und der Nachweis des Zusatznutzens eines neuen Wirkstoffs dadurch erschwert würde. Anlässlich der Anfang Februar 2021 veröffentlichten Addenda zu frühen Nutzenbewertungen der Wirkstoffe Secukinumab (bei Psoriasis-Arthritis), Ivacaftor (bei zystischer Fibrose) und Alpelisib (bei Brustkrebs) hat sich gezeigt, dass diese Schwelle funktioniert. Dazu Katrin Nink aus dem IQWiG-Ressort Arzneimittelbewertung: „Die Befürchtungen haben sich nicht bewahrheitet. Wir sehen, dass der neue Schwellenwert praxistauglich ist.“ In den betreffenden Bewertungen hätten die Hersteller die gewünschten Daten nachgereicht, sodass das Institut die Responderanalysen für seine Bewertungen heranziehen können.

Responderanalysen für patientenrelevante Endpunkte

Aber worum geht es im Einzelnen? Um die klinische Relevanz eines Unterschieds zwischen zwei Therapiealternativen zu zeigen, enthalten im Rahmen der frühen Nutzenbewertung neuer Arzneimittel die eingereichten Herstellerdossiers seit einigen Jahren vermehrt Responderanalysen für patientenrelevante Endpunkte. In solchen Analysen wird untersucht, ob sich der Anteil an Patientinnen und Patienten, die eine spürbare Veränderung im jeweiligen Endpunkt erfahren haben, zwischen den beiden Behandlungsgruppen einer Studie unterscheidet. Dabei geht es um Angaben zur gesundheitsbezogenen Lebensqualität oder zu einzelnen Symptomen wie Schmerzen oder Juckreiz, die Patientinnen und Patienten mithilfe von Skalen in Fragebögen erfasst haben.

Bisherige Methodik: Wann ist ein Unterschied bedeutsam?

Ab welchem Schwellenwert kann also ein Ansprechen (engl. response) auf eine Intervention für die Patientin oder den Patienten abgeleitet werden, sodass beispielsweise die

Stellungnahmeverfahren ausgiebig genutzt

Den Entwurf für die Aktualisierung seiner Allgemeinen Methoden hatte das IQWiG im August 2021 veröffentlicht und zur Diskussion gestellt. Daraufhin gingen 30 teils sehr ausführliche Stellungnahmen im Institut ein. Nach Ende der Stellungnahmefrist fand im November 2021 eine Erörterung mit Stellungnehmenden statt.

Als Konsequenz aus dem Stellungnahmeverfahren hat das IQWiG seine mit Version 6.1 vorgenommene Weiterentwicklung der Methoden ausführlicher erklärt als zuvor. Dies betrifft insbesondere die Änderungen in den Kapiteln 3 (Nutzenbewertung) und 9 (Informationsbewertung). Die Stellungnahmen hatten hier Erläuterungsbedarf aufgezeigt.

🌐 WEBTIPP

Zum Methodenpapier 6.1

[IQWiG.de](#) > [Über uns](#) > [Methoden](#) > [Methodenpapier](#)

Differenz der Response-Raten zweier Gruppen als Effektmaß für die Nutzenbewertung verwendet werden kann? Um diese Frage zu beantworten, hat sich die methodische Diskussion lange um sogenannte minimal important differences (MIDs, kleinste bedeutsame Unterschiede) gedreht. Dem Ansatz liegt die Überlegung zugrunde, dass sich für die jeweiligen Fragebögen Schwellen identifizieren lassen, die die kleinste für Patientinnen und Patienten bedeutsame Änderung darstellen. Jedoch wurden zuletzt methodische Probleme dieses Ansatzes sichtbar. So hat sich gezeigt, dass eine MID keine feste Größe für einen Fragebogen darstellt, sondern variabel ist. Sie hängt beispielsweise von der Art und Schwere einer Erkrankung, der untersuchten Richtung einer Veränderung (Verbesserung oder Verschlechterung) oder auch der Methodik ab, mit der sie ermittelt wird.

Neuer Ansatz entwickelt

Darüber hinaus ist deutlich geworden, dass viele wissenschaftliche Untersuchungen zur Ermittlung einer MID nicht mehr den heutigen methodischen Ansprüchen genügen oder die angewendete Methodik in den wissenschaftlichen Publikationen nicht hinreichend beschrieben wird. In dieser Situation hat das IQWiG einen neuen Ansatz entwickelt, der es ermöglicht, auf einfachem Wege Schwellen zu ermitteln, die hinreichend sicher einen bedeutsamen Bereich abgrenzen. Ziel dieser konkreten Festlegung war es auch, Klarheit für die Hersteller zu schaffen und willkürliche Responderanalysen auf Basis nicht nachvollziehbarer Responderdefinitionen unattraktiv zu machen.

Befürchtungen haben sich nicht bewahrheitet

Aus der Sichtung neuer wissenschaftlicher Übersichtsarbeiten zum Thema hatte das IQWiG daher 2020 einen Wert von 15 % der Spannweite der jeweiligen Skalen als plausiblen Schwellenwert für eine zwar noch kleine, aber hinreichend sicher spürbare Veränderung identifiziert. Erste Anwendungen in konkreten Bewertungssituationen bei einer ganzen Reihe von Fragebögen sowohl zur Belastung durch Krankheitssymptome als auch zur gesundheitsbezogenen Lebensqualität in ganz unterschiedlichen Indikationen wie zystischer Fibrose bei Kindern, Psoriasis-Arthritis oder Brustkrebs haben dann gezeigt: „Auf der Basis von Analysen mit den neuen Responseschwellen konnten wir die Vor- und Nachteile von Therapien aufzeigen, etwa den Vorteil von Ivacaftor für die Lebensqualität von Kindern mit zystischer Fibrose“, so Nink. „Das neue, generische Kriterium funktioniert also und hat sich mittlerweile in der frühen Nutzenbewertung etabliert.“

🌐 WEBTIPPS

Ausführliche Informationen zur Herleitung der 15 %-Schwelle finden sich unter [IQWiG.de](#) > [Über uns](#) > [Methoden](#) > [Methodenpapier](#) > [Version 6.0](#) > [Dokumentation und Würdigung der Anhörung zum Entwurf der Allgemeinen Methoden 6.0](#)

Zu den Addenda

[IQWiG.de](#) > [Projekte](#) > [Projekte & Ergebnisse](#) > [Eingabe der jeweiligen Projektnummer ins Suchfeld](#)

[Addendum A21-01](#)

[Addendum A21-03](#)

[Addendum A21-04](#)

[Addendum A21-05](#)

Zeit für Kosten-Nutzen-Bewertungen?

Und falls ja: Wie?

Die Zahl extrem hochpreisiger Therapien wächst schnell und die Finanzlage der Krankenkassen ist angespannt. Forderungen nach Kosten-Nutzen-Bewertungen werden lauter.

Gesundheitsökonomische Kosten-Nutzen-Bewertungen (KNB) können Informationen dazu liefern, ob die Übernahme der Kosten durch die Gemeinschaft der Krankenversicherten angemessen und zumutbar ist. Im deutschen Gesundheitswesen spielen solche Bewertungen bisher keine Rolle. Wir scheuen geradezu die öffentliche Debatte darüber, wie teuer eine Therapie im Verhältnis zum damit erzielten Nutzen sein darf. Wie kommt das? Kosten-Nutzen-Abwägungen sind in anderen Wirtschaftsbereichen und auch privat längst alltäglich.

All diese Fragen sind nicht neu. Sie stellen sich aber umso mehr in Zeiten, in denen für manche neuen Therapien Preise aufgerufen werden, die die finanzielle Leistungsfähigkeit des deutschen Gesundheitssystems in absehbarer Zeit überfor-

dern könnten. Ein Beispiel dafür war bereits 2014 die „1000-Dollar-Pille“ Sovaldi (Sofosbuvir) gegen chronische Hepatitis. Besonderes Augenmerk liegt auf Arzneimitteln für neuartige Therapien, sogenannte Advanced Therapy Medicinal Products (kurz ATMPs) wie beispielsweise Onasemnogen, ein Wirkstoff gegen spinale Muskelatrophie (SMA), dessen Preis noch viel höher ist.

Auch angesichts der bereits angespannten und absehbar noch kritischeren Finanzlage der Krankenkassen kommen wir an Antworten auf die offenen Fragen nicht mehr vorbei. Deshalb hat das IQWiG diese Fragen in den Mittelpunkt des Herbst-Symposiums 2021 gestellt, um den Auftakt zu geben für die breite öffentliche Debatte.



”

„Ist die Zeit reif für die KNB?“

Jürgen Windeler, Leiter des IQWiG und Gastgeber des Herbst-Symposiums stellt einleitend diese rhetorische Frage in den Raum. „Wie lassen sich sinnvolle medizinische Maßnahmen auch zukünftig noch sicher finanzieren?“, fragt er. Die bisherigen Bemühungen zur „Kostendämpfung“ hätten nicht nachhaltig gewirkt. „Ist das Gesundheitssystem also jetzt reif für die KNB? Dann wird und muss es um die Maßstäbe von KNB gehen: Geht es um den Wettbewerb, um Steuerung oder um Solidarität? Und natürlich muss über Methoden gesprochen werden, Modellierungen, die Wahl eines Maßes für den Nutzen, die Abbildung von Patienten-



präferenzen und -werten und vieles mehr. Und: Wer soll KNB eigentlich konkret machen?“

”

„Bei begrenzten Ressourcen kann die KNB zu Antworten auf Verteilungsfragen beitragen“,

sagt **Georg Marckmann**, Professor und Vorstand des Instituts für Ethik, Geschichte und Theorie der Medizin an der Ludwig-Maximilian-Universität München. Budgetierung sei ein politisch beliebtes Mittel der Ausgabenbegrenzung, aber kein besonders intelligentes, denn wie die begrenzten Ressourcen verteilt werden, bleibe unklar. Anzustreben sei, dass die Verteilung nach einem regional abgestimmten, bedarfsorientierten und patientenzentrierten Leitbild der Versorgung erfolge. Ein freier Markt biete den Konsumenten keine Chancengleichheit, denn die Qualität von Waren, Gütern und Leistungen des Gesundheitssystems ließen sich von Betroffenen kaum beur-



teilen und die Preise seien intransparent. Marckmann: „Ökonomische und ethische Argumente sprechen daher für eine Regulierung. Nur dort, wo sich das Leitbild erfüllt, verträgt das Gesundheitssystem Marktelemente.“

”

„Deutschland steht mittlerweile alleine da“,

stellt **Wolfgang Greiner** fest. Er hat den Lehrstuhl für Gesundheitsökonomie und Gesundheitsmanagement der Universität Bielefeld inne und ist Mitglied des Sachverständigenrats für Gesundheit. Sein internationaler Überblick über Grundkonzepte und Einsatz von Kosten-Nutzen-Bewertungen zeigt: In keinem Land der Welt gibt es eine Schwelle, ab der Krankenkassen keinerlei Leistungen mehr erstatteten. In seinen Augen müsse ab einem Schwellenwert nur genauer reflektiert und begründet werden, warum etwas gezahlt werde. Dabei sei es gar nicht so wichtig, einen genauen Schwellenwert zu beziffern, wie es England mit den QALYs (quality-adjusted life years) mache. Sein Fazit: „Deutschland muss sich



mit KNB den internationalen Standards anpassen, wie es im Gesetz längst vorgesehen ist, und wie es die STIKO bereits tut. Dafür brauchen wir allerdings geeignete Versorgungsdaten.“

„Die Evidenzlücke zum Nutzen und Schaden von Onkologika wächst.“

Surrogatendpunkte und beschleunigte Zulassungsverfahren seien ein Grund hierfür, stellt **Kerstin N. Vokinger** heraus. Sie arbeitet als Assistenzprofessorin für Öffentliches Recht und Digitalisierung, Gesundheitsrecht und Regulatory Sciences an der Universität Zürich. Wie sie berichtet, zeigt eine Schweizer Studie, dass nur weniger als ein Drittel aller neuen Arzneimittel einen Beleg für einen hohen Zusatznutzen aufweisen – zum größten Teil Onkologika. Um mehr Evidenz zu generieren, sei es wichtig, betont Vokinger, dass der Erstattungspreis zum Anreiz werde für das (Nach-)Liefern von fehlender Evidenz zum Zusatznutzen. Nur in Frankreich seien Preis und Nutzen gekoppelt. Aber warum nicht in anderen Ländern? International sei kein einheitliches System bei der



Preisbildung von Onkologika erkennbar. In den USA beispielsweise stiegen die Behandlungskosten für Onkologika nach der Zulassung, während sie in England, Deutschland und der Schweiz dann sinken.

„Deutschland ist definitiv eine verspätete EbM-Nation ...“

... und geprägt durch unfruchtbare Diskurse über Kostenexplosion und Begriffe wie Rationierung und Ökonomisierung“, resümiert **Norbert Schmacke**, Internist und Mitglied des Instituts für Public Health und Pflegeforschung an der Universität Bremen. In seinem Vortrag beschäftigte er sich mit der Frage, welche Wurzeln die deutsche Scheu vor Kosten-Nutzen-Bewertungen haben könnte. Er ging zunächst davon aus, dass es einfach zu viel Geld in der gesetzlichen Krankenversicherung gab und gebe. Doch der genauere Blick auf die Zeitläufe brachte ihn zu einem anderen Schluss: Bei den Therapievergleichen und „sparsamer, sachgemäßer Krankenbehandlung“ vor und während des 2. Weltkriegs wurden bereits große Fallzahlen, Wahrscheinlichkeiten und Vergleichsgruppen als wichtig erachtet. Dass sich deren Stellenwert nach Kriegs-



ende verlor, wirke bis heute auf den Stellenwert von (Kosten-) Nutzenbewertungen nach. Schmacke: „Denn wenn schon die Nutzenbewertung, also EbM, in Deutschland nicht fest etabliert ist, wird auch die Notwendigkeit für Kosten-Nutzen-Bewertungen nicht gesehen.“



„Von der Intransparenz der Arzneimittelpreise müssen wir weg!“

Dies fordert **Sabine Vogler**, Leiterin der Abteilung Pharmaökonomie beim Public-Health-Institut „Gesundheit Österreich GmbH“ (GÖG), in ihrem Vortrag zur Preisentwicklung bei neuen Arzneimitteln. Preisregulierung sei das zentrale Instrument: Denn auch kaufkraftbereinigt überforderten die Preise für neue Wirkstoffklassen das Leistungsvermögen etlicher Länder. Vogler: „Doch reelle Preisvergleiche sind kaum möglich, denn Listenpreise sind wegen der strikt vertraulichen Rabattverträge nicht aussagekräftig. Und diese Vertraulichkeit nützt finanzschwachen Ländern nichts, sondern verhindert hier sogar den Zugang zu Arzneimitteln.“ Höhere Rabatte könnten



eher von größeren Ländern mit größerer Marktmacht erzielt werden. Deshalb erscheine länderübergreifende Kooperation aussichtsreich – auch in Sachen Preistransparenz, wie sie die WHO-Resolution seit 2019 fordert.

Herbst-Symposium

Seit 2005 sind am letzten Wochenende im November aktuelle und kontroverse Aspekte aus den Bereichen Medizin und Gesundheitspolitik Thema auf dem Herbst-Symposium des IQWiG in Köln. Das Spektrum, aus dem die Referentinnen und Referenten kommen, ist meist so breit wie das der Themen: Epidemiologie und Onkologie, Gesundheitsökonomie, Rechtskunde und viele andere. Referiert und diskutiert wird über Medizinthemen, wissenschaftliche Methoden und Gesundheitssysteme.

Themen der vergangenen Jahre waren unter anderen:

- Kommerzialisierung im Gesundheitswesen – Zeit für Kosten-Nutzen-Bewertungen? (2021)
- pandemiebedingt ausgefallen (2020)
- Zwischen Skalpell und Algorithmus – evidenzbasiertes Operieren (2019)
- Saure Früchte vom Baum der Erkenntnis? Wie wir Evidenz kommunizieren (2018)

- Übertragung von Evidenz – Spiel ohne Grenzen? (2017)
- Mehr Licht als Schatten? Förderliche und hinderliche Faktoren für das Gelingen klinischer Studien (2016)
- „Real World Data“: Ein Gewinn für die Nutzenbewertung? (2015)
- Evidenzbasierte Versorgung: Wohin soll die Reise gehen? (2014)
- Lebensqualität im Gesundheitssystem: Wissen wir, was wir tun? (2013)
- Krebs: Alles ganz anders? / Kann weniger mehr sein? (2012)
- Methodik zwischen Regeln und Willkür / Eigenverantwortung (2011)

WEBTIPP

Mehr zu den Themen der Herbst-Symposien auf [IQWiG.de](https://www.iqwig.de) > [Veranstaltungen](#) > [Herbst-Symposium](#)



Noch eine große Lücke zwischen Theorie und Praxis

Versorgungsnah erhobene Daten können Evidenzlücken füllen, wenn zum Zeitpunkt des Marktzugangs keine aussagekräftigen Daten für neue Arzneimittel vorliegen. Im Januar 2020 hat das IQWiG definiert, welche Anforderungen diese Daten erfüllen müssen.



Die vom IQWiG vor zwei Jahren in einem Rapid Report aufgestellten Kriterien für die Verwendbarkeit versorgungsnah erhobener Daten in der frühen Nutzenbewertung von Arzneimitteln wurden in der Wissenschaft sehr positiv aufgenommen. Wie sieht es in der Praxis aus? Richten sich die pharmazeutischen Unternehmen in ihren Dossiers nach den Vorstellungen des IQWiG?

Kaiser: Leider nein. Gut zwei Jahre nach Veröffentlichung unseres Berichts müssen wir konstatieren, dass die Hersteller unsere damals definierten Anforderungen an versorgungsnah erhobene Datenerhebungen in ihren Dossiers für die frühe Nutzenbewertung nicht so auslegen, wie wir uns das wünschen.

Was ist das Problem?

Kaiser: Oft fehlen einfach entscheidende Informationen in den herangezogenen Datensätzen. Nehmen wir das Beispiel Amivantamab – ein Wirkstoff zur Behandlung des fortgeschrittenen nichtkleinzelligen Lungenkarzinoms. Um einen Zusatznutzen gegenüber der Vergleichstherapie nachzuweisen, zog der Hersteller Daten aus zwei Registern heran. In diesen Registern fehlten aber entscheidende Daten zur Ausprägung wesentlicher Patientencharakteristika wie Gesundheitszustand, Schwere der Erkrankung oder Art ihrer Vorbehandlung. Zudem enthielten die Register keine Daten zu wichtigen Endpunkten. Obwohl dem Hersteller das Fehlen dieser Infor-

mationen bewusst war, und er die fehlenden Patientencharakteristika teilweise selbst auch als relevante Störgrößen identifiziert hatte, wollte er ohne Berücksichtigung dieser Aspekte einen Zusatznutzen für sein Präparat aus diesen Daten ableiten.

Gibt es weitere typische Versäumnisse der Hersteller?

Kaiser: Immer wieder werden mithilfe versorgungsnah erhobener Daten auch Vergleiche zwischen gänzlich unterschiedlichen Patientengruppen konstruiert. Die Unterschiede zwischen den Populationen sind dann so groß, dass sie sich auch mit statistischen Verfahren nicht sinnvoll ausgleichen lassen. Im Grunde werden Äpfel mit Birnen verglichen, eine sachgerechte Nutzenbewertung ist mit solchen Datensätzen kaum möglich.

Was ist Ihr Fazit gut zwei Jahre nach Veröffentlichung der Kriterien für die Generierung und Anwendbarkeit versorgungsnah erhobener Daten?

Kaiser: Es klafft noch eine große Lücke zwischen Theorie und Praxis, also zwischen den international anerkannten Methoden, die wir in unserem Rapid Report beschrieben haben und der Praxis, wie sie sich uns in den Dossiers präsentiert. Wir benötigen hier dringend mehr ernsthaftes Vorgehen bei der Erhebung und Auswertung versorgungsnaher Daten. Schließlich verfolgen wir alle das wichtige Ziel, diese wertvollen Daten auch nutzen zu können.

🌐 WEBTIPP

Alle Aufträge und abgeschlossenen Arbeiten des IQWiG zum Thema anwendungsbegleitende Datenerhebung finden sich hier: [IQWiG.de > Projekte und Ergebnisse > „Anwendungsbegleitende Datenerhebung“ ins Suchfeld eingeben](https://www.iqwig.de/de/projekte-und-ergebnisse/„anwendungsbegleitende-datenerhebung“-ins-suchfeld-eingeben)

EUnetHTA 21 erarbeitet die Zukunft des europäischen HTA

13 HTA-Organisationen, darunter das IQWiG und der G-BA, bilden die internationale Arbeitsplattform EUnetHTA 21. Zusammen erarbeiten sie die Grundlagen für das gemeinsame HTA in der Europäischen Union (EU).

Nach langen Debatten und Verhandlungen ist im Dezember 2021 die EU-weite HTA-Verordnung (Regulation 2021/2282) verabschiedet worden. Sie ist im Januar 2022 in Kraft getreten. Sie besagt, dass ab 2025 Nutzenbewertungen (Health Technology Assessments, HTAs) zu neuen Arzneimitteln und anderen Gesundheitstechnologien sukzessive in europäischer Zusammenarbeit erstellt werden.

Die Erfahrungen aus dem Projekt Joint Action 3 (JA3) des europäischen HTA-Netzwerks EUnetHTA haben jedoch gezeigt, dass bei der Methodik und der Durchführung von HTAs noch unterschiedliche Meinungen bestehen. Ein Beispiel dafür sind diskrepante Auffassungen bezüglich des Umfangs (Scope) einer Nutzenbewertung, also welche Fragen mit der Bewertung beantwortet werden sollen. Dieser Scope ist länderspezifisch abhängig vom jeweiligen Gesundheitssystem, in dem die Nutzenbewertung Anwendung finden soll.

Alric Rüther,
Leiter des Stabsbereichs
Internationale
Beziehungen



„Im Rahmen von EUnetHTA 21 entwickeln wir die methodischen Grundlagen und Prozesse für die zukünftige europäische HTA-Arbeit, damit qualitativ hochwertige Bewertungen entstehen können. Dabei geht es uns auch darum, den guten Austausch mit internationalen HTA-Organisationen, den wir seit vielen Jahren pflegen, zu intensivieren.“



Konsortium EUnetHTA 21 erhielt Zuschlag

Um die Methodik und die Konsensfindung bei der gemeinsamen Durchführung von HTAs für Arzneimittel und Medizinprodukte sowie die gemeinsame wissenschaftliche Beratung voranzubringen, wurde von der EU ein Servicevertrag ausgeschrieben. Den Zuschlag erhielt das Konsortium „EUnetHTA 21“, dessen 13 HTA-Organisationen bereits am Projekt JA3 mitgewirkt hatten, darunter das IQWiG und der G-BA. Im Rahmen des Projekts beteiligt sich das IQWiG vor allem an der Weiterentwicklung von Methodenleitfäden für gemeinsame Durchführung von HTAs für Arzneimittel und Medizinprodukte, die als Basismaterial für die Anwendung der HTA-Verordnung dienen werden.

Weg bereiten

Von 2021 bis 2023 soll EUnetHTA 21 den Weg für die in der EU-HTA-Verordnung 2021/2282 enthaltenen Ziele ebnen. Die anstehenden Aufgaben umfassen:

- Weiterentwicklung der HTA-Methodik (besonders in Bereichen, wo noch unterschiedliche Meinungen bestehen)
- Durchführen von gemeinsamen Nutzenbewertungen
- Koordinieren, dass relevante HTA-Organisationen, die nicht Mitglied von EUnetHTA 21 sind, ihre Beiträge auch einbringen können und Ergebnisse der gemeinsamen Arbeit leichter übernehmen und verbreiten können.

Solche Aktivitäten sollen dazu beitragen, das Know-how über gemeinsame HTA-Arbeit in regionalen und nationalen HTA-Organisationen in ganz Europa weiterzuentwickeln.

Heads of Agencies Group

Vor dem Hintergrund der EU-HTA-Verordnung hat sich eine unabhängige Gruppe gebildet und zur Heads of Agencies Group (HAG) zusammengeschlossen (aktuell 19 Organisationen, für Deutschland: das IQWiG und der G-BA). Sie setzt sich zusammen aus leitenden Mitgliedern der HTA-Organisationen, die im Executive Board JA3 von EUnetHTA bereits zusammengearbeitet hatten. Ihr Ziel ist, das Verständnis und den Austausch zwischen den europäischen HTA-Organisationen zu verbessern. Dadurch will die HAG ein zielgerechteres Arbeiten ermöglichen und den weiteren HTA-Prozess in der EU beratend begleiten.

WEBTIPPS

<https://www.eunetha.eu>

Zum White Paper „A future model of cooperation“

<https://www.eunetha.eu/future-model-of-cooperation-fmc-white-paper/>

Vorläufer-Projekt: EUnetHTA Joint Action

Grundlagen entwickelt und erste Projekte bearbeitet. Im Mai 2021 wurde das EUnetHTA-Projekt Joint Action 3 beendet. Ziel von JA3 war, die freiwillige Zusammenarbeit auf wissenschaftlicher und technischer Ebene zwischen HTA-Agenturen zu unterstützen. Dafür wurden unter anderem und unter der Leitung des IQWiG eine generelle Strategie und Grundsätze einer wissenschaftlichen und technischen Zusammenarbeit in Form zahlreicher methodischer Leitlinien und Standardarbeitsanweisungen erarbeitet. Diese Anleitungen und Prozessübersichten wurden in einer Datenbank, dem EUnetHTA Companion Guide, zusammengefasst. Zusätzlich wurden 19 gemeinsame Bewertungen zu Arzneimitteln und 30 zu Medizinprodukten sowie 41 Beratungen durchgeführt.

Covid-19. Auch aktuelle Entwicklungen zu Covid-19 wurden im Rahmen von JA3 untersucht. Das IQWiG war unter anderem an einem Review zu Antikörpertests beteiligt (RCR OT 01 – “Rapid collaborative review on the current role of antibody tests for novel coronavirus SARS-COV-2 in the management of the pandemic”).

White Paper erstellt. Mit dem Abschluss von JA3 ist die Entwicklung der Zusammenarbeit im Rahmen von EUnetHTA zunächst beendet. Sie wird aber in Form von EUnetHTA 21 fortgesetzt. Was wurde erreicht? Die Erkenntnisse und Empfehlungen der verschiedenen Aktivitäten aus JA3 sind in einem White Paper (siehe Webtipp) zusammengefasst. Auf technischer Ebene wurden eine Website und ein Intranet für die Zusammenarbeit eingerichtet.

Fünf Jahre ThemenCheck Medizin: Zahl der Themen-Einreichungen wächst

Über die Website des IQWiG haben Bürgerinnen und Bürger bis Ende 2021 mehr als 170 unterschiedliche Themen eingereicht, für die sie sich eine wissenschaftliche Untersuchung wünschen.

Seit Juli 2016 können interessierte Personen über ein einfaches Formular auf der Website des IQWiG Themen für Health Technology Assessments (sog. Gesundheitstechnologiebewertungen, HTA-Berichte) vorschlagen. Besonderes Merkmal ist, dass für die Eingabe der Themen keine medizinische Fachkenntnis erforderlich ist. Das Spektrum der Themen-Vorschläge ist groß. Eine Auswahl:

- Fragen zu Screeningverfahren (z. B. Hodenkrebsfrüherkennungs-Untersuchungen bei Männern ab 16 Jahren)
- Fragen zur Diagnostik, zu therapeutischen Maßnahmen (z. B. Stoßwellentherapie bei Achillessehnenentzündung) und Rehabilitationsmaßnahmen (z. B. Rehabilitationsmaßnahmen bei koronarer Herzkrankheit)
- Themen, die eher Public-Health-Relevanz haben (z. B. Maßnahmen gegen soziale Isolation im Alter)
- Adressiert werden unterschiedliche Technologien für verschiedene Erkrankungen, etwa psychische Erkrankungen (z. B. Magnetkrampftherapie bei schweren Depressionen), Krebserkrankungen (z. B. begleitende Musiktherapie bei Krebs) oder Muskel- und Knochenerkrankungen (z. B. Kinesiotapes bei Muskelerkrankungen).
- Das Interesse der Themenvorschlagenden richtet sich auch oft auf sogenannte „sanfte“ oder „alternative“ Therapien wie pflanzliche Mittel bei Blasenentzündung oder eine „Waldtherapie“ bei Bluthochdruck.

Bis Ende 2021 wurden mehr als

170 Themen

vorgeschlagen und auf der Website des ThemenCheck veröffentlicht; 23 Themen wurden für die Erstellung eines HTA-Berichts ausgewählt.



- Auch Fragen zu digitalen Anwendungen wie z. B. nach den Auswirkungen einer digitalen Patientenakte auf die Versorgungsqualität oder dem Nutzen von Apps zum Selbstmanagement bei multipler Sklerose sind unter den Themenvorschlägen.

Von allen Einreichungen wurden bis Ende 2021 23 Themen für die Erstellung eines HTA-Berichts ausgewählt. Externe Wissenschaftsteams haben die Berichterstellung aufgenommen. Zentrale Bearbeitungsergebnisse zu ausgewählten Themen finden sich im Infokasten auf Seite 20.



Zentrale Ergebnisse ausgewählter HTA-Berichte

HT17-02 Begleitende Musiktherapie bei Krebs

„Musiktherapie kann das gesundheitliche Wohlbefinden von Menschen, die an Krebs leiden, (unmittelbar nach der Therapie) steigern und Gefühle von Abgeschlagenheit und Angst mildern.“

HT18-01 Hodenkrebs-Früherkennungs- Untersuchungen bei Männern ab 16 Jahren

Es „liegen keine Studien vor, die darauf hinweisen, dass regelmäßige Maßnahmen zur Früherkennung mehr Nutzen als Schaden bringen.“

HT18-04 Licht- und Vitamintherapie bei Herbst-Winter-Depression

„Studien deuten darauf hin, dass Lichtlampen die Beschwerden von Personen mit einer Herbst-Winter-Depression zumindest kurzfristig etwas bessern können. Ob Vitamin D zur Behandlung von Herbst-Winter-Depression sinnvoll ist, bleibt unklar.“

HT20-01 Pflanzliche Mittel bei wiederkehrender Blasenentzündung

„Der präventive Einsatz von Cranberry-Präparaten kann bei Frauen mit unkomplizierter wiederkehrender Blasenentzündung sinnvoll sein, da es einen Hinweis auf einen Nutzen zur Rezidivvermeidung im Vergleich zu Placebo gibt und der präventive Einsatz von Antibiotika gemäß S3-Leitlinie nur in seltenen Fällen empfohlen ist.“

HT20-04 Vitamin-B12- und Vitamin-D-Screening bei älteren Personen

„Basierend auf der vorliegenden Evidenz kann daher nicht geschlussfolgert werden, dass Personen ab 50 Jahren von einer regelmäßigen Bestimmung der Vitamin-D- und Vitamin-B12-Werte im Blut und nachfolgender Vitaminsubstitution im Falle eines symptomlosen Mangels profitieren.“

WEBTIPP

Alle Themen, zu denen HTA-Berichte entstanden sind oder gerade entstehen, finden sich hier
www.IQWiG.de > sich einbringen > Thema vorschlagen > runterscrollen
 zu HTA-Berichte
www.iqwig.de/sich-einbringen/themencheck-medizin-thema-vorschlagen/



**Drei Fragen an
Heidi Stürzlinger,
Wissenschaftlerin
bei der Gesundheit
Österreich GmbH**



Als externe Sachverständige hat Stürzlinger an den HTA-Berichten „Begleitende Musiktherapie bei Krebs“ und „Pflanzliche Mittel bei wiederkehrender Blasenentzündung“ mitgearbeitet. Sie ist als Wissenschaftlerin bei der Gesundheit Österreich GmbH, dem nationalen Forschungs- und Planungsinstitut für das Gesundheitswesen der Republik Österreich tätig, unter anderem in den Bereichen HTA und Evidenzberichte.

Was ist aus Ihrer Sicht das Besondere an den HTA-Berichten des ThemenCheck Medizin?

Die Anliegen werden in einem Bottom-Up-Prozess von Bürgerinnen und Bürgern eingebracht. Das unterstützt das Bemühen, Themen mit hoher Patientenrelevanz auszuwählen. Die sorgfältige Themenauswahl im IQWiG gewährleistet sowohl die Machbarkeit der Berichterstellung als auch einen effizienten Mitteleinsatz.

Warum ist es für Sie interessant, HTA-Berichte für den ThemenCheck des IQWiG zu erstellen?

Wir schätzen die Zusammenarbeit mit dem IQWiG sehr. Es ist immer ein sehr spannender, gut strukturierter Prozess, und es geht stets um sehr relevante Fragestellungen, gerade auch für den Public-Health-Bereich.

Gibt es besondere Herausforderungen bei der Erstellung der HTA-Berichte?

Häufig ist die Studienlage zu den konkreten Fragestellungen sehr heterogen. Nicht immer lassen sie sich komplett und mit zufriedenstellender Ergebnissicherheit beantworten.

ThemenCheck Medizin: Wie läuft das Verfahren?

Grundlage. Mit dem „GKV-Versorgungsstärkungsgesetz (GKV-VSG)“ hat der Gesetzgeber 2015 festgelegt, dass Versicherte und sonstige interessierte Einzelpersonen beim Institut Themen für wissenschaftliche Bewertungen von medizinischen Verfahren und Technologien vorschlagen können. Aufgabe des Instituts ist es, die Vorschläge zu sammeln, Themen auszuwählen und mithilfe der Instituts-Methodik von Externen bearbeiten zu lassen (siehe Interview, Seite 20).

Auswahl der Themen. Die Mitarbeiterinnen und Mitarbeiter des ThemenCheck Medizin formulieren auf Basis des eingereichten Vorschlags und ggf. in Rücksprache mit der vorschlagenden Person eine Fragestellung, die als HTA-Bericht bearbeitbar ist. Danach erfolgt die Themenauswahl in einem zweistufigen Auswahlprozess. In einem ersten Schritt trifft ein mit Bürgerinnen und Bürgern sowie Patientenvertreterinnen und Vertretern besetzter Auswahlbeirat eine Vorauswahl aus allen innerhalb eines Jahres vorgeschlagenen Themen. Bei der Auswahl spielen etwa die Anzahl der Betroffenen, die Krankheitslast, die Kosten der Intervention oder die Frage eine Rolle, ob das Thema bereits in aktuellen Übersichtsarbeiten untersucht wurde. Damit soll sichergestellt werden, dass vor allem solche Themen ausgewählt werden, die aus Sicht von Patientinnen und Patienten sowie Bürgerinnen und Bürgern von besonderem Interesse sind. Anschließend wird die Vorauswahl mit Vertreterinnen und Vertretern der Trägerorganisationen des IQWiG diskutiert, bevor das Institut jährlich bis zu fünf Themen festlegt, zu denen HTA-Berichte erstellt werden.

Externe als Autorinnen und Autoren. Die HTA-Berichte werden nicht durch das Institut selbst, sondern durch externe Sachverständige erstellt. Dafür werden in Ausschreibungsverfahren jeweils interdisziplinär zusammengesetzte Arbeitsgruppen mit methodischen, klinischen, gesundheitsökonomischen, ethischen und weiteren akademischen Qualifikationen und Erfahrungen gesucht. Diese externen Sachverständigen erstellen dann auf Basis der Methodik des IQWiG in eigener inhaltlicher Verantwortung die HTA-Berichte. Das IQWiG unterstützt die Berichterstellung durch methodische Beratung sowie Informationsbeschaffung.

Inhaltliche Besonderheit. Eine Besonderheit der HTA-Berichte des ThemenCheck Medizin liegt darin, dass in diesen nicht nur der Nutzen und Schaden einer Technologie geprüft, sondern auch die Kosten und die Kostenwirksamkeit untersucht werden. Darüber hinaus werden ethische, soziale, rechtliche und organisatorische Rahmenbedingungen sowie mögliche Konfliktlinien dargestellt.

Rolle der Betroffenen. Bei der Erstellung der HTA-Berichte spielen Patientinnen und Patienten eine wichtige Rolle. So führen die externen Sachverständigen Gespräche mit Betroffenen, um das Krankheitserleben und die Punkte, die Patientinnen und Patienten im Hinblick auf die Erkrankung und Therapie besonders wichtig sind, besser zu verstehen. Ebenso wird eine allgemein verständliche Version des HTA-Berichts (HTA kompakt) erstellt, die eine Antwort auf die Frage der oder des Themenvorschlagenden enthält.



Gesundheitsinformationen: Unterstützung für besondere Gruppen

Das IQWiG baut seine Website gesundheitsinformation.de als breites Internetangebot weiter aus. Zugleich prüft es, mit welchen Informations-Angeboten es besondere Gruppen noch besser unterstützen kann.

Mit www.gesundheitsinformation.de ist das Institut längst ein Teil des deutschen digitalen Systems. Trotz Digitalisierung müssen aber auch die Bevölkerungsgruppen Aufmerksamkeit erhalten, für die fern der digitalen Welt weiterhin Gespräche und persönliche Beratung im Zentrum der Gesundheitsversorgung stehen, und die in Umfang und Format möglicherweise angepasste Informationen brauchen – vielleicht auch in gedruckter Form.

Für Bedarfsanalyse: Drei Zielgruppen befragt

Daher hat das Institut eine qualitative Bedarfsanalyse in Auftrag gegeben, um mehr über die Bedürfnisse und Wünsche sozial benachteiligter Menschen im Hinblick auf Gesundheitsinformationen zu erfahren. Bei der Bedarfsanalyse ging es vor allem darum zu klären,

1. welche Gruppen welche Informationsbedürfnisse haben und wie sie sich informieren,
2. wie Informationen am besten zugeschnitten und verbreitet werden, um diesem Bedarf zu entsprechen und
3. was sich Informations-Vermittlerinnen und -Vermittler an Informationen wünschen, sowohl im Hinblick auf die eigene Fortbildung als auch zur Unterstützung von Gesprächen und Beratung – sei es digital oder gedruckt.

Im Rahmen der qualitativen Bedarfsanalyse fanden also zunächst Gespräche mit zwei „schwer erreichbaren“ Gruppen statt: sozial benachteiligte Familien (maximal mittlere Schulbildung, geringes Einkommen) und ältere Menschen (65 Jahre und älter, maximal mittlere Schulbildung, geringes Einkommen). Außerdem ist bekannt, dass Multiplikatorinnen und Multiplikatoren eine wichtige Rolle als Vertrauenspersonen für schwer erreichbare Gruppen spielen, zum Beispiel bei Sozialberatungen. Daher wurden auch potenzielle Informations-Vermittlerinnen und -Vermittler für die zuvor genannten Gruppen in die Bedarfsanalyse als dritte Zielgruppe einbezogen (siehe Tabelle, Seite 23).

Umsetzungsvorschläge

Aus der Bedarfsanalyse ergeben sich jetzt konkrete Vorschläge zur Umsetzung: Einige Empfehlungen sind für alle Nutzerinnen und Nutzer der IQWiG-Website www.gesundheitsinformation.de hilfreich. Dazu gehören etwa Gesundheitsinformationen, denen passend für alle Ausgabegeräte Kurzzusammenfassungen vorangestellt werden. Ferner sind auch Texte, die mit noch mehr Grafiken illustriert sind, für alle hilfreich. Andere Empfehlungen erfordern zunächst den Aufbau neuer Kompetenzen und Vorarbeiten, zum Beispiel die Entwicklung eines speziellen Angebots für Vermittlerinnen und Vermittler und ein Ausbau des Videoangebots.

Wünsche an Gesundheitsinformationen



IQWiG 2022

In diesem Zusammenhang plant das Institut, in einem weiteren Projekt mehr über die Informations-Wünsche und -Bedürfnisse von Menschen mit geringen Deutschkenntnissen und

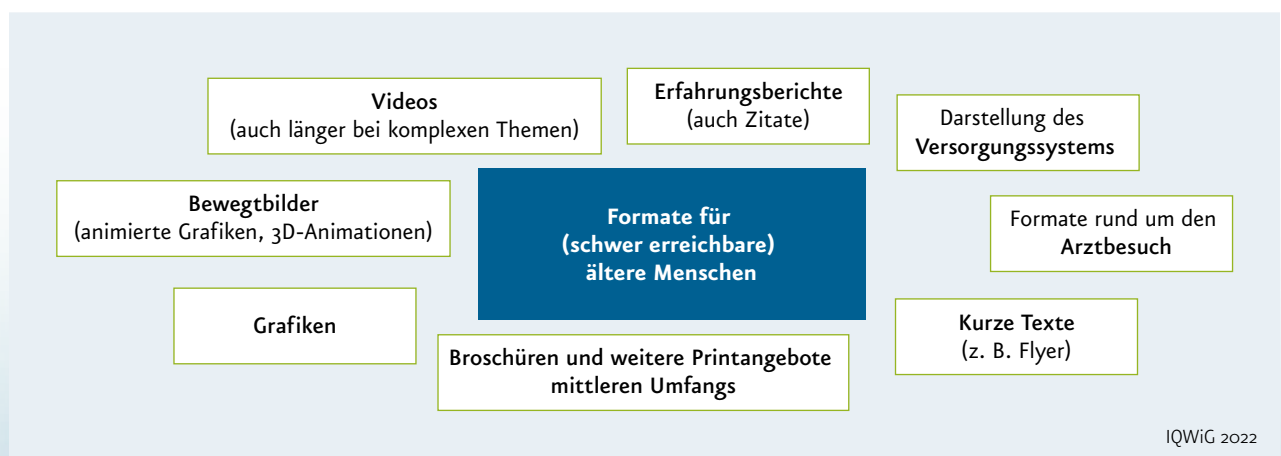
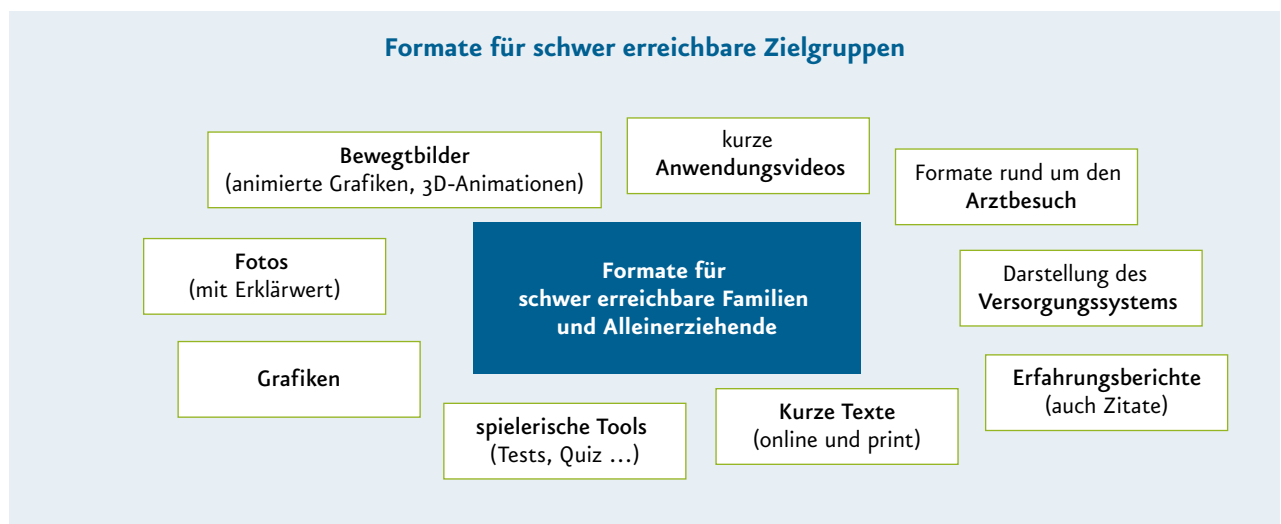
von Jugendlichen und jungen Erwachsenen in Erfahrung zu bringen, um auch diese noch umfassender berücksichtigen zu können.

Stichprobe für die qualitative Bedarfsanalyse bei schwer erreichbaren Gruppen

	Familien und Alleinerziehende (ZG 1a + 1b)	Ältere (ZG 2)	Vermittler*innen (ZG 3)	Gesamt
Weiblich	19	16	23	58
Männlich	6	13	4	23
20 bis 35 Jahre	10	–	7	17
> 35 bis 50 Jahre	13	–	8	21
> 50 bis 65 Jahre	2	9	12	23
> 65 Jahre	–	20	–	20
Gesamt	25	29	27	81

IQWiG 2022

Formate für schwer erreichbare Zielgruppen



IQWiG 2022

Hochrisiko-Medizinprodukte: § 137h-Bewertung braucht erneute Reform

Seit zwei Jahren bewertet das IQWiG wieder neue Untersuchungs- und Behandlungsmethoden mit Medizinprodukten hoher Risikoklasse, aber die gesetzlichen Regelungen gemäß § 137h SGB V funktionieren nur schlecht.

Nach ersten Bewertungen von invasiven Therapieverfahren mit Hochrisiko-Medizinprodukten (§137h-Verfahren) im Jahr 2016 waren im Zeitraum 2017 bis 2019 beim Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA) keine weiteren Anfragen von Krankenhäusern eingegangen.

Gesetzesänderung belebte das Verfahren

Eine Gesetzesänderung im Jahr 2019 belebte das Verfahren dann neu: Jetzt muss eine neue Hochrisiko-Methode nicht mehr „mindestens ein Potenzial“ aufweisen, um von gesetzlichen Krankenkassen bezahlt zu werden. Ebenso hat nun nach der Gesetzesänderung der G-BA und nicht der Medizinproduktehersteller die Kosten der Erprobungsstudie zu tragen. Die Finanzierungsfrage hatte in der Vergangenheit auch dafür gesorgt, dass vor allem Hersteller der §-137h-Bewertung negativ gegenüberstanden. Das Besondere des Paragraphen 137h ist, dass hiermit gänzlich neue, besonders invasive und teure Krankenhaustherapien geprüft und in Erprobungsstudien geführt werden sollen, während alle anderen neuen Methoden der Krankenhausbehandlung ohne nähere Prüfung zulasten der Krankenversicherung angewendet werden dürfen.

Elf Bewertungen für invasive Therapieverfahren abgeschlossen

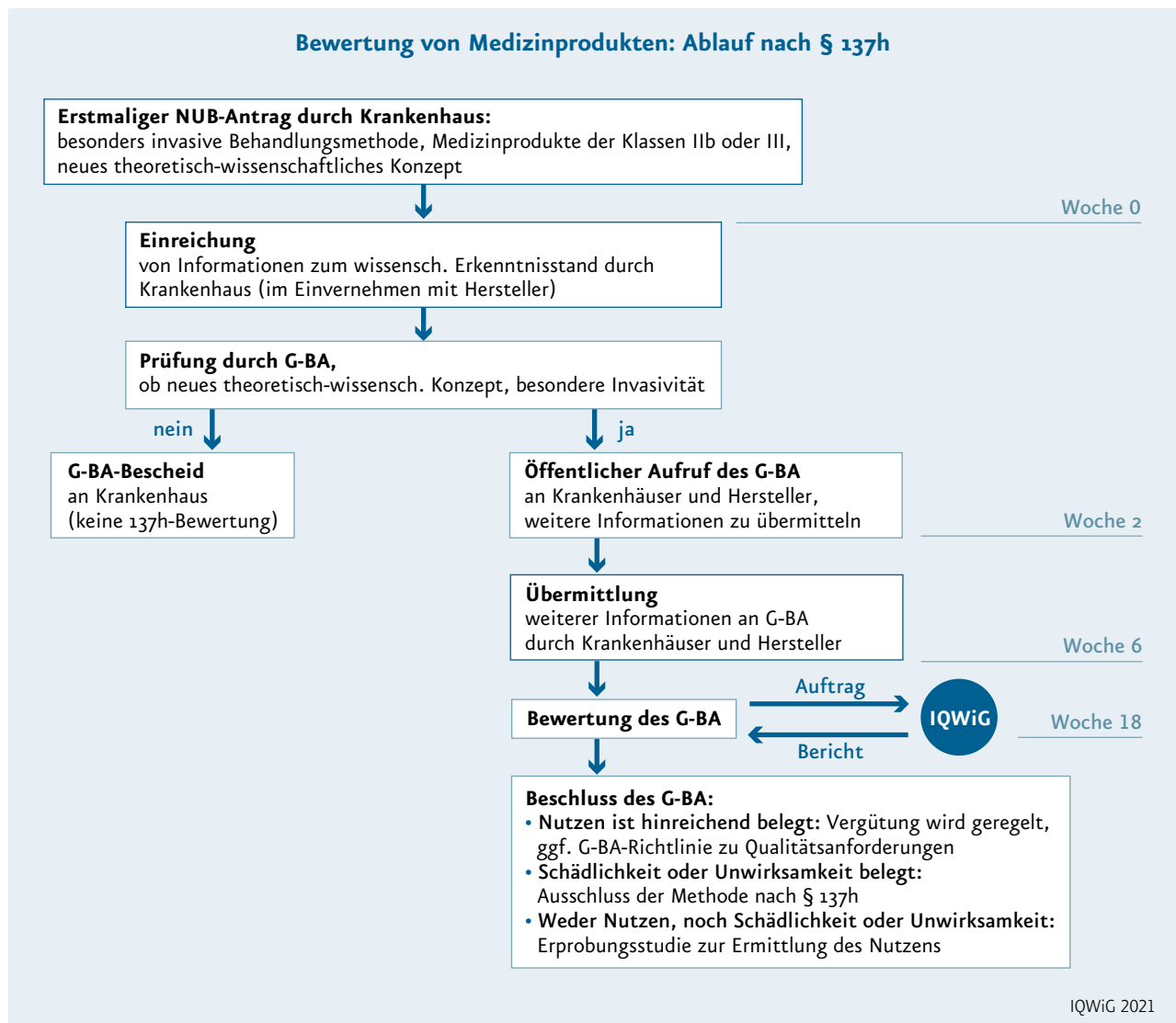
Im Herbst 2020 wurden dem G-BA sodann nach dreijähriger Pause wieder Unterlagen zu neuen Untersuchungs- und Behandlungsmethoden mit Medizinprodukten hoher Risikoklasse gemäß § 137h SGB V vorgelegt. Insgesamt beauftragte der G-BA das Institut in den letzten zwei Jahren damit, zwölf Therapieverfahren zu prüfen. Einer dieser Aufträge befindet sich derzeit noch in Bearbeitung. Die elf untersuchten invasiven Therapieverfahren beziehen sich auf Herz (vier Aufträge), Gehirn (zwei Aufträge), Lunge, Darm, Bauchspeicheldrüse, Gebärmutter und Harnröhre (je ein Auftrag). Das Institut

hat dabei regelhaft sechs Wochen Zeit, um die Angaben und klinischen Daten, die jeweils von Krankenhaus und Medizinproduktehersteller zusammengestellt werden, zu prüfen. In manchen Fällen hatte der Hersteller bereits eine eigene Studie begonnen, sodass vor allem zu entscheiden war, ob neben der Studie des Herstellers eine weitere Studie in Deutschland sinnvoll ist.

Mangels aussagekräftiger Daten ließ sich bei keinem der elf Verfahren eine belastbare Aussage machen zu Nutzen, Schaden oder Unwirksamkeit für die primär betroffene Patientengruppe. Nur in einem Fall zeichnete sich in einer Teilfragestellung ein Nutzen der neuen Behandlungsmethode ab. Dem Ziel des Gesetzes entsprechend hat das IQWiG jeweils Eckpunkte für Erprobungsstudien entwickelt, sofern nicht bereits vielversprechende Studien liefen. Sofern der G-BA auf Basis der IQWiG-Bewertungen entsprechende Beschlüsse fasst, können die neuen Behandlungsmethoden durch die gesetzlichen Krankenversicherungen (GKV) erstattet werden. Allerdings bieten derzeit nur einige wenige Krankenhäuser die bewerteten neuen Behandlungsmethoden an, die sie vorrangig im Rahmen von Studien anwenden sollen.

Zu neuen Therapieverfahren geeignete Studien aufsetzen

„In § 137h-Bewertungen wird man selten Nutzen, Schaden oder Unwirksamkeit feststellen können, weil die Behandlungsmethoden neu und nur teilweise erforscht sind. Es geht also vor allem darum, dass zu den neuen Therapieverfahren geeignete Studien in Deutschland aufgesetzt werden“, erklärt Stefan Sauerland, Leiter des Ressorts Nichtmedikamentöse Verfahren. Bislang aber ergeben sich beim G-BA primär zwei Situationen: Entweder der Hersteller führt bereits selbst eine geeignete Studie zu seinem Medizinprodukt durch, sodass der G-BA nur abwarten muss. Oder aber der Hersteller hat noch keine solche Studie gestartet, sodass der G-BA gesetzlich



verpflichtet ist, diese Aufgabe zu übernehmen. Wenn aber der Hersteller keine eigene Studie plant, liegt dies oft daran, dass die neue Behandlungsmethode noch zu „jung“ und unbekannt ist, um eine Studie zum Nutznachweis planen zu können. Auch IQWiG und G-BA kann es dann naturgemäß kaum gelingen, eine große, deutschlandweite Studie zu konzipieren. Hier sieht das IQWiG dringenden Verbesserungsbedarf.

🌐 **WEBTIPP**

Zu allen §-137h-Bewertungen geht es über:
[IQWiG.de > Projekte und Ergebnisse > Projekte > § 137h ins Suchfeld eingeben](https://www.iqwig.de/de/projekte-und-ergebnisse/projekte/137h-ins-suchfeld-eingeben)



Drei Fragen an
Stefan Sauerland,
Leiter des Ressorts
Nichtmedikamentöse
Verfahren



Hochrisiko-Medizinprodukte: Reformbedarf des § 137h-Verfahrens ist hoch, meint Stefan Sauerland, Leiter des Ressorts Nichtmedikamentöse Verfahren

Welchen Stellenwert hat das jetzige § 137h-Verfahren für die Gesundheitsversorgung?

Neue Methoden der Krankenhausbehandlung werden nur sehr selten von G-BA und IQWiG untersucht. Der Gesetzgeber wollte mit dem § 137h dafür sorgen, dass zumindest gänzlich neue, besonders invasive und teure Methoden der Krankenhausbehandlung geprüft werden, bevor diese als GKV-Leistung allgemein angewendet werden dürfen. Man wollte neue Methoden verfügbar machen, gleichzeitig aber die Anwendung mit Studien begleiten. Dann jedoch ließ man 2019 die Anforderung fallen, dass eine neue Methode zumindest ein Potenzial, also einen potenziellen Nutzen, erkennen lassen muss, um angewendet und in Erprobungsstudien untersucht werden zu dürfen. Auch hat das Bundesgesundheitsministerium in dem Zuge festgelegt, dass der G-BA die Studienkosten tragen muss. Seitdem erhält der G-BA deutlich mehr § 137h-Methoden zur Bewertung.

Wo sind Schwachpunkte?

Durch die § 137h-Regelung wird der G-BA gezwungen, auch solche Methoden deutschlandweit zu erproben, die bislang gerade erst ein paar Dutzend Mal weltweit angewendet wurden. Die dabei erhobenen Daten lassen zum Teil keine auch nur annähernd verlässliche Abschätzung der Erfolgsaussichten einer Erprobung zu. Und die GKV-Versichertengemeinschaft muss derlei Studien bezahlen, obwohl die Studienergebnisse primär dem Hersteller des Medizinprodukts nutzen. Problematisch ist ferner, dass die neue Methode auch außerhalb der Studie angewendet werden darf. Denn so fehlen der Studie die notwendigen Probandinnen und Probanden.

Was sollte sich ändern?

Der Gesetzgeber muss dem G-BA erlauben, auf Erprobungsstudien zu neuen Hochrisikomethoden unter bestimmten Umständen zunächst zu verzichten, wenn die Daten noch nicht ausreichen für die sachgerechte Planung einer Studie, die den Nutzenbeleg erbringen kann. Stattdessen könnte man eine Aussetzung des Verfahrens ermöglichen, damit der Hersteller und die Krankenhäuser weitere Daten generieren, um so nach etwa zwei oder drei Jahren eine sinnvolle Studie konzipieren zu können. Im Fokus muss auch danach die Durchführung einer sinnvollen Erprobungsstudie stehen, nicht die schnelle Verfügbarkeit der neuen Methode für alle Patientinnen und Patienten. Man sollte daher festlegen, dass riskante Methoden während der Erprobungsphase nur an Personen angewendet werden dürfen, die im Rahmen dieser Studie behandelt werden.

Reliable Medical Knowledge

- test methods
- treatment procedures
- drugs

Meldungen

Myalgische Enzephalomyelitis / Chronic Fatigue Syndrome

Startschuss für ein komplexes Projekt. Seit Mitte 2021 arbeitet das Institut im Auftrag des Bundesgesundheitsministeriums (BMG) den aktuellen wissenschaftlichen Kenntnisstand zu ME/CFS auf – aufmerksam begleitet von Betroffenen, die eine seit langem mangelhafte Versorgungslage beklagen. Das Kernsymptom der Krankheit ist eine Belastungsintoleranz, also eine Zustandsverschlechterung nach Aktivitäten. Die Symptome – darunter körperliche Schwäche, Schmerzen und kognitive Störungen – halten oft sehr lange an und schränken die Lebensqualität stark ein. Viele Patientinnen und Patienten üben ihren Beruf nicht mehr aus, sind in schweren Fällen bettlägerig und pflegebedürftig. Man schätzt, dass in Deutschland etwa 250 000 bis 300 000 Menschen ME/CFS haben.

Zur Forschung aufgefordert. Im Versorgungsalltag begegnen die Betroffenen häufig Personen, die das Krankheitsbild nicht kennen oder es bagatellisieren. Bislang gibt es weder eindeutige Biomarker für die Diagnose noch allgemein anerkannte Therapien, die auf Heilung abzielen. Vor diesem Hintergrund hat das Europäische Parlament die EU-Staaten zur Stärkung der ME/CFS-Forschung aufgefordert. Der Auftrag des BMG an das IQWiG ist als erster Schritt zur Erfüllung dieser Forderung zu verstehen. Das Vorhaben umfasst vier Aspekte: Erstens wird der aktuelle Wissensstand zu Diagnose, Symptomen, Verläufen und Folgen der Erkrankung,

mutmaßlichen Ursachen, Epidemiologie und Versorgung systematisch aufgearbeitet. Eine sogenannte Evidenzkartierung gibt eine Übersicht über die Studienlage zu Therapieoptionen. Zu zwei in der Evidenzkartierung identifizierten Therapieverfahren werden dann Nutzenbewertungen durchgeführt. Und viertens wird eine Gesundheitsinformation erstellt, die das relevante Wissen verständlich vermittelt und auf der Website gesundheitsinformation.de veröffentlicht wird.

Projektverlauf. 2021 hat das Institut im Berichtsplan die Methoden dokumentiert, die es heranzieht, dazu Stellungnahmen eingeholt und offene Fragen in einer Erörterung geklärt. Außerdem wurden drei medizinische Sachverständige gewonnen, die das Projekt begleiten. Die Projektgruppe, die im Ressort Nichtmedikamentöse Verfahren angesiedelt ist, ließ sich von Betroffenen deren Lage schildern. Und es wurden FAQs veröffentlicht, in denen 14 Fragen zum Projekt beantwortet werden. 2022 erscheint der Vorbericht, zu dem wiederum Stellungnahmen eingeholt werden, und 2023 der Abschlussbericht.

🌐 WEBTIPP

Näheres zum ME/CFS-Projekt des IQWiG findet sich hier: <https://www.iqwig.de/faq-zum-mecfs-projekt/>

Leitlinienarbeit: IQWiG unterstützt mit Evidenzberichten

Studien recherchiert und bewertet. Um medizinische Fachgesellschaften bei ihrer Leitlinienarbeit zu unterstützen, recherchiert und bewertet das Institut Studien für S3-Leitlinien. Gesetzlicher Hintergrund ist das im Januar 2020 in Kraft getretene Digitale-Versorgung-Gesetz. Darin hat der Gesetzgeber festgelegt, dass die Arbeitsgemeinschaft der Wissenschaftlichen Medizinischen Fachgesellschaften (AWMF) dem Bundesministerium für Gesundheit (BMG) medizinische Leitlinien vorschlagen kann, zu deren Entwicklung oder Aktualisierung das IQWiG mit Evidenzrecherchen beiträgt. Die Aufträge für die Evidenzrecherchen erhält das Institut vom BMG. Erklärtes Ziel des Gesetzgebers dabei ist es, Themen von besonderem Interesse für die Versorgung und mit besonderem Förderbedarf aufzugreifen. Bisher hat das BMG dem IQWiG neun Aufträge für Evidenzrecherchen erteilt (siehe Tabelle).

S3-Leitlinie (IQWiG-interne Projektnummer)	Anzahl Evidenz- berichte	Bearbeitungs- stand
Demenzen [V20-03]	6	Alle Evidenz- berichte in 2021 veröffentlicht
Klinische Ernährung in der Gastroenterologie – Pankreas [V20-06]	5	Alle Evidenz- berichte in 2021 veröffentlicht
Nicht erholsamer Schlaf/ Schlafstörungen – Insomnie bei Erwachsenen [V20-07]	2	Alle Evidenz- berichte in 2021 veröffentlicht
Behandlung cannabis- bezogener Störungen [V21-06]	4	Erster Evidenz- bericht erstellt, die weiteren in Bearbeitung
Diagnostik und Therapie von benignen Erkrankungen der Gebärmutter [V21-08]	5	Projektstart in Kürze
Therapie entzündlicher Erkran- kungen der Gaumenmandeln / Tonsillitis [V21-09]	5	Evidenzberichte in Bearbeitung
Oropharyngeale Dysphagie infolge einer Kopf-Hals-Tumor- Erkrankung – Diagnostik und Therapie [V21-10]	Anzahl noch unklar	Projektstart in 2022
Sozialpädiatrische Nachsorge extrem unreifer Frühgeborener mit einem Geburtsgewicht unter 1000 Gramm [V21-11]	Anzahl noch unklar	Projektstart in 2023
Sicherer Schwangerschafts- abbruch [V21-12]	Anzahl noch unklar	Projektstart in 2022

Zum Beispiel: Evidenzberichte zur S3-Leitlinie Demenzen. „Eine nicht gesicherte Finanzierung, mehrere beteiligte Fachgesellschaften mit entsprechendem Abstimmungsbedarf und natürlich eine besonders relevante und drängende Thematik: Die Aktualisierung der S3-Leitlinie Demenzen zeigt beispielhaft, wann das IQWiG nach dem Willen des Gesetzgebers bei der Leitlinienarbeit unterstützen soll“, erläutert IQWiG-Leiter Jürgen Windeler. Dabei liefern die Evidenzberichte allein keine Ableitung von Nutzen oder Schaden der verschiedenen Interventionen. Diese Bewertung ist Aufgabe der jeweiligen Leitliniengruppe, die die konkreten Empfehlungen für die Behandlung von Patientinnen und Patienten entwickelt.

Konstruktive Zusammenarbeit mit den Fachgesellschaften. „Die Evidenzberichte des IQWiG bilden eine sehr gute Grundlage für die Nutzenbewertung und die Empfehlungen der Leitliniengruppe“, resümiert Richard Dodel, Leitlinienkoordinator für die S3-Leitlinie Demenzen bei der Deutschen Gesellschaft für Neurologie (DGN) und lobt die konstruktive und zielführende Zusammenarbeit mit dem IQWiG. Frank Jessen, ebenfalls Leitlinienkoordinator für die S3-Leitlinie Demenzen bei der Deutschen Gesellschaft für Psychiatrie und Psychotherapie, Psychosomatik und Nervenheilkunde (DGPPN), ergänzt: „Die bekannt hohe methodische Kompetenz des IQWiG drückt sich auch in der Qualität der Evidenzberichte aus. Die Berichte adressieren wesentliche und auch schwierig zu recherchierende Aspekte der Demenz-Leitlinie.“ Ein positives Feedback kam auch von Kai Spiegelhalter, Leitlinienkoordinator der Leitlinie Insomnie: „Ich habe selten einen qualitativ so hochwertigen und inhaltlich so hilfreichen Input von außen erhalten und würde persönlich Ihr Angebot zur Erarbeitung von Evidenzberichten allen Leitlinienbeauftragten, die hierzu die Möglichkeit haben, nachdrücklich empfehlen.“

🌐 WEBTIPPS

Zu den Evidenzberichten Demenzen und Insomnie
[IQWiG.de > Projekte und Ergebnisse > Projektnummer ins Suchfeld eingeben](#)

Evidenzrecherche S3-Leitlinie Demenzen (V20-03)

Evidenzrecherche S3-Leitlinie Insomnie bei Erwachsenen (V20-07)

Nutznachweis auch ohne randomisierte kontrollierte Studien

Evidenzhierarchie. Weil randomisierte kontrollierte Studien (RCTs) die höchste Aussagesicherheit zu Interventionseffekten bieten, wird oft vermutet, das IQWiG würde bei Fehlen von RCTs niemals einen Nutzen feststellen. Ein weiteres Beispiel widerlegt diese Annahme nun.

Sehr große Effekte überzeugen. Zur Behandlung von Vestibularisschwannomen (Nerventumoren im Schädelinneren) eignen sich stereotaktische Radiochirurgie und mikrochirurgische Resektion. Zum Vergleich beider Therapieverfahren lagen im IQWiG-Projekt N20-03 aber nur drei nicht randomisierte prospektive Studien vor. Trotz methodischer Einschränkungen waren die Effekte so groß, dass sie sich nicht allein durch Verzerrung erklären ließen. Daher kann man hierin einen Anhaltspunkt für einen höheren Nutzen der stereotaktischen Radiochirurgie erkennen. In den (allerdings seltenen) Fällen, in denen eine neue Therapie die Behandlung dramatisch verbessert, kann das IQWiG auch ohne RCTs zu einer positiven Nutzensaussage kommen.

🌐 WEBTIPPS

Zum Bericht „N20-03 Bewertung der stereotaktischen Radiochirurgie (SRS) zur Behandlung von interventionsbedürftigen Vestibularisschwannomen“

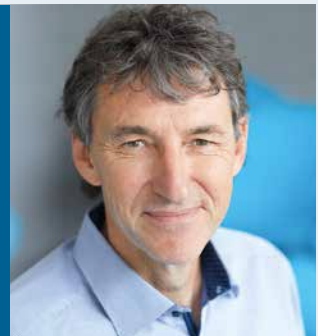
[IQWiG.de > Projekte > Projekte & Ergebnisse > N20-03 im Suchfeld eingeben](#)

Zu den „Allgemeinen Methoden Version 6.1“ (Kapitel 3.2.2 Dramatischer Effekt)

[IQWiG.de > Über uns > Methoden > Allgemeine Methoden > Methodenpapier](#)



Ein Kommentar
von Klaus Koch,
Leiter des Ressorts
Gesundheitsinformation.



Auf dem Radar der Werbebranche

Manchmal merkt man es an Kleinigkeiten, dass sich der Wind gedreht hat. Zum Beispiel daran, dass das Ressort Gesundheitsinformation seit ca. 2 Jahren fast wöchentlich Anfragen zu Marketing-Kooperationen erhält: Agenturen und Firmen fragen nach, was es denn koste, auf gesundheitsinformation.de redaktionelle Hinweise auf das ein oder andere Gesundheitsprodukt zu veröffentlichen. Die Frage an sich lässt schon tief in die Gebräuche der Branche blicken. Klar, dass wir das kategorisch ablehnen.

Dass die Werbebranche das IQWiG auf dem Radar hat, liegt aber vermutlich an einem erfreulichen Trend: Attraktive Plattformen für Werbung haben ja idealerweise einen guten Ruf und eine hohe Reichweite. Fast schon ein Ritterschlag ist da die Nachricht des Nachrichtenmagazins Focus im Januar 2022: Gesundheitsinformation.de „wurde mit dem DEUTSCHLAND TEST-Siegel TOP Gesundheits-Portal ausgezeichnet.“ In der Rubrik Gesundheitsportale landete gi.de in der Nutzerbewertung (cave: nicht Nutzenbewertung!) auf Platz 2 hinter apothecken-umschau.de und vor netdoktor.de.

Worauf wir uns – ganz IQWiG – natürlich erst mal die Methodik der Bewertung angeschaut haben. Um das Ergebnis mit unseren üblichen Begriffen zu beschreiben: Leider fehlten relevante Daten. Die Veröffentlichung gab nicht genug her, um unseren eigenen Bewertungskriterien zu genügen.

Wir würden uns deshalb nicht selbst als Nr. 2 der „TOP Gesundheits-Portale“ bezeichnen. Zugegeben: Widersprochen haben wir auch nicht.

IQWiG im Dialog 2021: Umgang mit Skalen in der Nutzenbewertung



Hybridveranstaltung. Nach dem pandemiebedingten Ausfall im Vorjahr fand im Juni 2021 in Köln die 13. Veranstaltung aus der Reihe „IQWiG im Dialog“ statt. Das Institut hatte die Tagung erstmals als Hybridveranstaltung organisiert; insgesamt nahmen knapp 190 Personen teil und widmeten sich dem Thema „Umgang mit Skalen in der Nutzenbewertung“.

Perspektive der Betroffenen frühzeitig berücksichtigen. Wichtige Endpunkte bei der Nutzenbewertung medizinischer Interventionen wie gesundheitsbezogene Lebensqualität oder andere patientenberichtete Endpunkte werden häufig mithilfe von Skalen gemessen, deren Einheit nicht direkt interpretierbar ist. Daher ist die Anwendung von skalenbasierten Endpunkten und die Interpretation entsprechender Studienergebnisse in der Praxis mit verschiedenen Problemen verbunden. Bereits bei der Planung von Studien sollte auch die Perspektive von Patientinnen und Patienten etwa in Bezug auf die Häufigkeit und Dauer der Datenerhebung in Form von Fragebogen berücksichtigt werden. Des Weiteren können statistische Aspekte wie die Wahl geeigneter Effektmaße oder das Ausmaß fehlender Werte die statistische Datenanalyse verkomplizieren. Bei der Beurteilung der klinischen Bedeutung publizierter Studienergebnisse von skalenbasierten Endpunkten kann die Definition geeigneter

Schwellenwerte hilfreich sein. Mit Experten und Expertinnen von Universitäten, Forschungseinrichtungen, Industrie, Patientenorganisationen und HTA-Institutionen diskutierten Wissenschaftlerinnen und Wissenschaftler des IQWiG im Rahmen der Veranstaltung die Anwendung und die aktuellen Probleme und Herausforderungen skalenbasierter Endpunkte im Rahmen der Nutzenbewertung.

Definition von Responseschwellen. Sowohl am Vormittag als auch am Nachmittag hatte das IQWiG jeweils einen längeren Block für Diskussionen eingeplant, an der sich auch die online zugeschalteten Teilnehmer und Teilnehmerinnen mithilfe der Chatfunktion sehr rege beteiligten. Die Referentinnen und Referenten nahmen sich viel Zeit für die Beantwortung der Fragen. Besonders ausführlich diskutierten die Kongressteilnehmerinnen und -teilnehmer dabei über Sinn, Möglichkeiten und Grenzen bei der Definition von Responseschwellen wie dem aktuellen IQWiG-Vorschlag von mindestens 15 % der Skalenspannweite (vgl. Text auf Seite 10). Die Folien der Vorträge von IQWiG im Dialog 2021 sind auf der Website des Instituts abrufbar (siehe Webtipp).

🌐 WEBTIPP

Zu den Folien der Tagung
[IQWiG.de > Veranstaltungen > IQWiG im Dialog](https://www.iqwig.de/de/veranstaltungen/iqwig-im-dialog)

Teilnahme am weltweiten Awareness Day: Die Rolle der Evidenz in der Infodemie

Globaler Aktionstag im digitalen Raum. Das IQWiG beteiligte sich 2021 erstmals am World Evidence-Based Healthcare (EBHC) Day. Seit 2020 findet er jährlich am 20. Oktober statt – ein globaler Aktionstag im digitalen Raum, der darauf abzielt, die Vorteile einer evidenzbasierten Gesundheitsversorgung bekannter zu machen. Die Initiative wird vom Joanna-Briggs-Institute der Universität von Adelaide geleitet.

Wie auf die Infodemie reagieren? Passend zur Corona-Pandemie widmete sich der EBHC Day im Jahr 2021 der „Rolle der Evidenz in einer Infodemie“. Insbesondere in Zeiten, in denen jeden Tag weltweit unfassbar viele Informationen und Meinungen zu Covid-19-Impfungen und -Eindämmungsmaßnahmen verbreitet werden, sollte die Bedeutung vertrauenswürdiger, evidenzbasierter Gesundheitsinformationen im Zentrum des Awareness Days stehen. „Wir rufen die globale Evidenz-Community dazu auf, ihre Erfahrungen, ihr Fachwissen und ihre Geschichten über das Management von Infodemie zu teilen, einschließlich der Erleichterung einer akkuraten Wissensübersetzung, der Verfeinerung von Wissen, der Filterung und Überprüfung von Fakten, des Aufbaus von eHealth-/Wissenschaftskompetenz und der Überwachung, Infoveillance und des sozialen Zuhörens“, hieß es im Aufruf zur Teilnahme am EBHC 2021.

Mit einem Blog dabei. Das IQWiG beteiligte sich mit einem Blog am EBHC Day 2021. Darin erläuterte Klaus Koch, Leiter des Ressorts Gesundheitsinformation, am Beispiel der Corona-Impfung, wie das Institut evidenzbasierte und verständliche Gesundheitsinformationen für die gesamte Bevölkerung in Deutschland bereitstellt.

Evidenzbasierte Texte in 48 Stunden erstellt. Im Dezember 2020 hatten BioNTech und Pfizer die Corona-Impfstoff-Zulassung in den USA und Europa beantragt. Parallel veröffentlichten die Behörden Zusammenfassungen der eingereichten Daten in eigenen Berichten. Auf Grundlage dieser Daten hat das IQWiG nach und nach acht deutschsprachige Texte zu den in der EU zugelassenen Corona-Impfstoffen erstellt, auf gesundheitsinformation.de veröffentlicht und bei Bedarf aktualisiert. „Für eine HTA-Organisation wie das IQWiG war das eine Herausforderung“, betont Klaus Koch im EBHC-Day-Blog: „Normalerweise benötigen wir deutlich mehr Zeit, um evidenzbasierte Gesundheitsinformation zu einem Thema zu erstellen und zu veröffentlichen.“ Corona habe seinem Team eine neue Schnelligkeit abgefordert: Die Texte zu den Impfstoffen wurden im besten Falle innerhalb von 48 Stunden erstellt.

Kernelemente berücksichtigt. Dabei seien die Kernelemente einer evidenzbasierten Gesundheitskommunikation beibehalten worden: verständliche Sprache, nicht-verzerrende Darstellung von Wahrscheinlichkeiten, Risiken und Effekten (zum Beispiel in absoluten Zahlen), transparente Darstellung von Vor- und von Nachteilen der Impfung sowie Darstellung von Unsicherheiten und Wissenslücken.

🌐 WEBTIPP

<https://worldebhcday.com>

AMNOG: 10 Jahre frühe Nutzenbewertung

Die anfangs sehr kritisch beäugte frühe Nutzenbewertung neuer Arzneimittel ist in Deutschland zehn Jahre nach Inkrafttreten des Arzneimittelmarktneuordnungsgesetzes (AMNOG) längst etabliert und genießt international einen hervorragenden Ruf. Sie stellte einen Paradigmenwechsel für die Arzneimittelversorgung dar, denn Hersteller müssen seither den Zusatznutzen, also den Mehrwert ihrer neuen Wirkstoffe in einem sehr transparenten Verfahren mit wissenschaftlicher Evidenz belegen. Damit bewirkt die frühe Nutzenbewertung, dass fundierte Evidenz für die Preisverhandlungen zwischen Vertretern der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) und pharmazeutischen Herstellern geschaffen wird. Sie stellt gleichzeitig Ärztinnen und Ärzten fundierte Informationen über neue Arzneimittel bereit.

Verschiedene Anwendungsgebiete und diverse Auftragsanlässe. Wie vielfältig das Spektrum der Indikationen und die konkreten Anlässe für die Beauftragung des Instituts im Rahmen der frühen Nutzenbewertung sind, zeigt exemplarisch ein Blick auf die 23 Bewertungen, die das Institut im März 2021 finalisierte: Die Vielfalt der Indikationen reicht von Krebserkrankungen über Epilepsien, chronische Nierenerkrankungen, seltene Erkrankungen wie Mukoviszidose, Transthyretin-Amyloidose und spinale Muskelatrophie bis hin zu chronischer Herzinsuffizienz und Schuppenflechte mit Gelenkentzündungen. Auch alle infrage kommenden Anlässe für eine Beauftragung des IQWiG mit einer frühen Nutzenbewertung durch den G-BA waren dabei vertreten: die klassische Neuzulassung eines Medikaments, die erweiterte Zulassung eines bekannten Wirkstoffs für ein zusätzliches Anwendungsgebiet, die Neubewertung eines Wirkstoffs nach Befristung oder wegen neuer Studiendaten und auch das Überschreiten der 50-Millionen-Euro-Jahresumsatz-Schwelle eines Arzneimittels für eine seltene Erkrankung (Orphan Drug).

Große Bandbreite an Bewertungsergebnissen. Über die zurückliegenden zehn Jahre betrachtet, hat das Institut in etwa 40 Prozent der frühen Nutzenbewertungen einen Zusatznutzen anerkannt, bei der Hälfte davon in einem beträchtlichen oder erheblichen Ausmaß. Alle Bewertungsergebnisse des IQWiG und die zu Grunde liegenden Daten sind frei zugänglich – über www.iqwig.de. Für diese Transparenz wird das AMNOG international sehr gelobt (siehe Grafik, Seite 33). Ebenso finden sich umfangreiche Informationen zu allen abgeschlossenen und laufenden Nutzenbewertungsverfahren auf der Website des G-BA (siehe Webtipps).

Den Auftrag zur

500. Dossierbewertung

erhielt das Institut im Lauf des Jahres 2021

vom G-BA: Nivolumab bei Nierenzellkarzinom

(Projektnummer A21-59). Damit prüfte das IQWiG

das 13. Anwendungsgebiet von Nivolumab.

Die Vielzahl der Aufträge ergab sich primär daraus,

dass das Institut nicht stetig neue Wirkstoffe

bewertete, sondern für zahlreiche

bereits bekannte Wirkstoffe

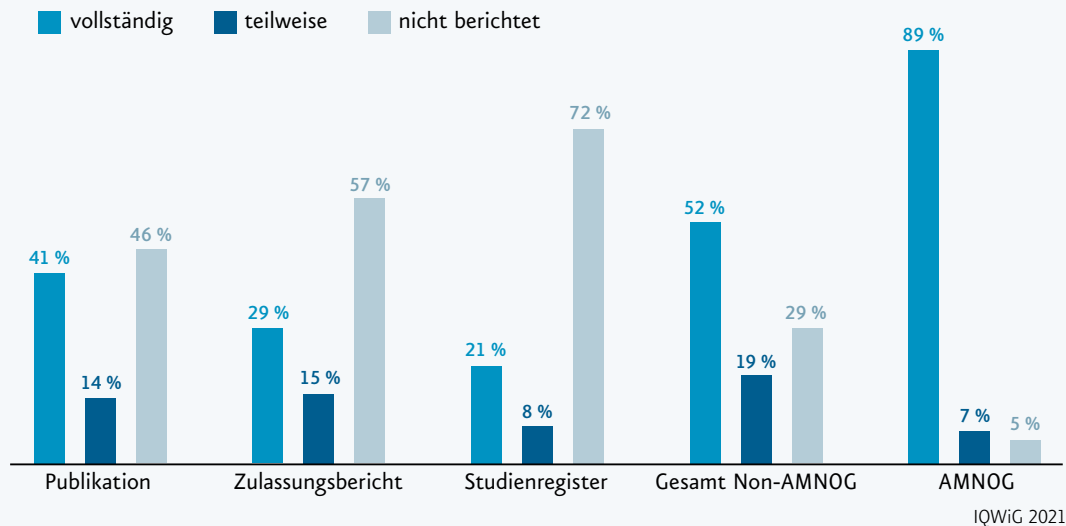
stets neue Anwendungsgebiete

erschlossen wurden.



Vollständigkeit und Transparenz durch AMNOG

Verfügbarkeit von Studienergebnissen in unterschiedlichen Quellen



Nicht alle Studien aus der Zulassung sind geeignet.

Breit gestreut ist auch die Datenqualität in den Dossiers, die die Hersteller für die frühe Nutzenbewertung ihrer Wirkstoffe beim IQWiG einreichen. In manchen Fällen sind die Daten unvollständig oder ermöglichen keinen Vergleich mit der vom G-BA festgelegten zweckmäßigen Vergleichstherapie. „Doch ohne vernünftige vergleichende Daten fehlen wichtige Informationen – nicht nur für die Nutzenbewertung, sondern auch für die Therapieentscheidung vor Ort“, betont Thomas Kaiser, Leiter des IQWiG-Ressorts Arzneimittelbewertung. Das Problem: „Die klinischen Studien der Hersteller sind oftmals vorrangig auf die Anforderungen der Zulassungsbehörden ausgerichtet und weniger auf die wichtige Fragestellung der Nutzenbewertung: Welchen Stellenwert hat das neue Arzneimittel gegenüber der bisherigen Standardtherapie?“, erläutert Kaiser. Er appelliert an die Hersteller, auch die Anforderungen an die Nutzenbewertung in den Studien zu berücksichtigen oder eigene Studien für

die Nutzenbewertung durchzuführen. „Zehn Jahre nach Inkrafttreten des AMNOG kann es kein Argument mehr sein, dass die Anforderungen an die Nutzenbewertung bei der Studienplanung nicht bekannt gewesen wären.“

WEBTIPPS

Weitere Infos zu den jährlichen Bewertungsergebnissen des AMNOG in der Kurzübersicht „Zusatznutzen: Ja oder Nein?“, zu finden hier:

[IQWiG.de > Pressecenter > Mediathek > Jahresberichte](https://www.iqwig.de/pressecenter/mediathek/jahresberichte)

Infos rund ums AMNOG finden sich unter „Neue Arzneimittel: Zulassung, Nutzenbewertung, Erstattung“ hier:

[IQWiG.de > Pressecenter > Themen im Fokus](https://www.iqwig.de/pressecenter/themen-im-fokus)

www.iqwig.de/presse/im-fokus/neue-arzneimittel-zulassung-nutzenbewertung-erstattung/

Eine Übersicht zu den laufenden und abgeschlossenen Nutzenbewertungsverfahren finden sich auf den Internetseiten des G-BA

<https://www.g-ba.de/bewertungsverfahren/nutzenbewertung/>

Das IQWiG in den Medien:

Wer sagte was?

Strenge Standards bei Medikamentenstudien gelten aus gutem Grund

„Die größte Beschleunigung bringt es, wenn weniger wissenschaftliche Belege für die Zulassung eingefordert werden. [...] Ein guter Weg wäre das allerdings nicht.“

Beate Wieseler, Leiterin des Ressorts Arzneimittelbewertung in: DIE ZEIT „Immer schneller, immer früher“, 24.06.2021, Seite 38

[Quelle: Viciano A, Catanzaro M. Immer schneller, immer früher [online]. 2021 [Zugriff: 13.04.2022]. URL: <https://www.zeit.de/2021/26/pharmafirmen-zulassung-medikamente-krebs-beschleunigung/komplettansicht>.

Zu wenig klinische Forschung in Deutschland

„In der medizinischen Grundlagenforschung mag Deutschland gut sein. Klinische Epidemiologie, in anderen Ländern hochgeschätzt, führt in Deutschland dagegen ein klägliches Schattendasein. [...] Die Grundlage aller Diskussionen zum Brust-, Prostata- und Lungenkrebs-Screening sind 12 bis 15 große randomisierte Studien, die einen Zeitraum von mehr als 40 Jahren überdecken. Nur eine einzige dieser Studien wurde in Deutschland durchgeführt.“

Jürgen Windeler in: observer-gesundheit.de, Traurige Forschungskultur und fehlender politischer Wille, 10.11.2021

[Quelle: Windeler J. Traurige Forschungskultur und fehlender politischer Wille [online]. 2021 [Zugriff: 12.04.2022]. URL: <https://observer-gesundheit.de/traurige-forschungskultur-und-fehlender-politischer-wille/>]

Das AMNOG: ein deutsches Phänomen

„Persönlich habe ich vor allem in den ersten Jahren erfahren, dass das AMNOG international einmalig ist. Mehr als einmal habe ich vor internationalem Publikum über das AMNOG referiert und nach dem Ende des Vortrags in erwartungsvolle Augen geschaut. Nach dem Motto: Ja, und dann? Die Zuhörer waren dann oft sehr erstaunt, wenn ich erklärte, dass die IQWiG-Bewertung „kein Zusatznutzen“ für einen neuen Wirkstoff keine Konsequenzen auf das „Ob“ der Erstattung in der Krankenversicherung hat, sondern nur auf die Höhe des Erstattungspreises. Das gibt es so sonst nirgendwo.“

Jürgen Windeler im Interview mit Operation Gesundheitswesen, 19. Jahrgang, Sonderausgabe „10 Jahre AMNOG“ Januar 2021, Seite 33

[Quelle: Windeler J. Zu wenig Zeit für grundlegende methodische Fragen. Operation Gesundheitswesen 2021; 19 (Sonderausgabe Januar): 32-33.]



Surrogatendpunkte: Immer nur ein Ersatz

” Surrogatendpunkte sind immer nur ein Ersatz für patientenrelevante Endpunkte. Sie funktionieren dann, wenn für den Ersatzendpunkt gezeigt werden kann, dass, wenn der Ersatzendpunkt beeinflusst wird, gleichzeitig ein Effekt bei dem eigentlich interessierenden, patientenrelevanten Endpunkt eintritt. Eine biologische Plausibilität und ein prognostischer Wert eines Ersatzendpunkts sind notwendige, aber nicht hinreichende Faktoren.“

Stefan Lange, stellv. Leiter des IQWiG, auf dem „Fachsymposium Onkologie: Hämatologie und tumorübergreifende Zulassungen im Fokus“ am 26.10.2021 in Berlin

[Quelle: Flexibel bleiben, Betroffene besser einbinden und individuell behandeln [online]. 2022 [Zugriff: 04.05.2022]. URL: <https://www.aerztezeitung.de/Nachrichten/Flexibel-bleiben-Betroffene-besser-einbinden-und-individuell-behandeln-426135.html>.]

Evidenzbasierte Infos schaffen Vertrauen

” Wir sind uns sicher, dass die Grundelemente der evidenzbasierten Medizin – eine unverzerrte Beschreibung des Wissens, ein offener Umgang mit Unsicherheiten und eine schnelle Korrektur von (in der Pandemie unvermeidbaren) Fehleinschätzungen – Garanten dafür sind, auch in schwierigen Zeiten Vertrauen aufzubauen.“

Klaus Koch, Leiter des Ressorts Gesundheitsinformation in: Tagesspiegel Background, Evidenzbasierte Infos schaffen Vertrauen, 19.11.2021

[Quelle: Koch K. Evidenzbasierte Infos schaffen Vertrauen [online]. 2021 [Zugriff: 12.04.2022]. URL: <https://background.tagesspiegel.de/gesundheit/evidenzbasierte-infos-schaffen-vertrauen>.]

Keine Evidenz für anlassloses Hautkrebs-Screening

” Man macht nicht viel falsch, wenn man die Tests macht. Man macht aber genauso wenig falsch, wenn man sie auslässt.“

Zum Hintergrund: Das Hautkrebscreening ist Bestandteil des Vorsorgetests, den die gesetzlichen Krankenkassen allen Versicherten ab 35 Jahren alle drei Jahre bezahlt.

Stefan Sauerland, Leiter des Ressorts Nichtmedikamentöse Verfahren in: Welt am Sonntag, „Durchgecheckt“, 14.11.2021, Seite 67

[Quelle: Donner S. Durchgecheckt. Welt am Sonntag 2021; (46): 67.]

Beschleunigte Zulassung: Inwieweit profitieren die Erkrankten tatsächlich?

” Diese beschleunigte Zulassung von Krebsmedikamenten [...] hat ja zum Ziel, dass man bestimmte neue Medikamente frühzeitig den Patientinnen und Patienten zur Verfügung stellt. Dadurch, dass wir aber gar keine Daten dazu haben, ob diese Medikamente tatsächlich besser sind als das Alte [gemeint: die bisherige Standardtherapie], lässt sich aus diesen Daten gar nicht ableiten, ob die Patientinnen und Patienten davon tatsächlich profitieren.“

Thomas Kaiser, Leiter des Ressorts Arzneimittelbewertung in: ARD-Reportage „Markt der Hoffnung: Die neuen Krebsmedikamente“ (ab Minute 21:09) vom 12.4.2021

[Quelle: Markt der Hoffnung: Die neuen Krebsmedikamente [online]. 2021 [Zugriff: 13.04.2022]. URL: <https://www.ardmediathek.de/video/die-story/markt-der-hoffnung-die-neuen-krebsmedikamente/wdr/Y3JpZDovL3dkci5kZS-9CZWlocmFnLTBiOGlyZGVhLTloOTUtNDljZSo4MTEyLThhNTUzMtIoNDJhYw.>]

Wissenschaftlich unabhängig

Als unabhängiges wissenschaftliches Institut untersucht das IQWiG Nutzen und Schaden von medizinischen Maßnahmen für Patientinnen und Patienten.

Über die Vor- und Nachteile von Untersuchungs- und Behandlungsverfahren informiert das IQWiG in Form von wissenschaftlichen Berichten und allgemein verständlichen Gesundheitsinformationen. Diese Informationen unterstützen Entscheidungsprozesse in Selbstverwaltung und Politik sowie in der Versorgung, auch im Arzt-Patienten-Gespräch. Auch weist das Institut auf Wissenslücken in der Medizin hin, um gezielt Forschung in Gang zu setzen.

von Aufsichtsorganen. Ein Kuratorium und ein Wissenschaftlicher Beirat beraten das Institut. Der Finanzausschuss berät die Organe der Stiftung und die Institutsleitung. Er prüft den Haushaltsplan und den Jahresabschluss des Instituts. Die Aufgaben des Instituts und seine Rechtsform sind seit 2004 im Sozialgesetzbuch (Fünftes Buch: Gesetzliche Krankenversicherung, SGB V) verankert. Sie wurden in weiteren Gesundheitsreformen angepasst und erweitert.

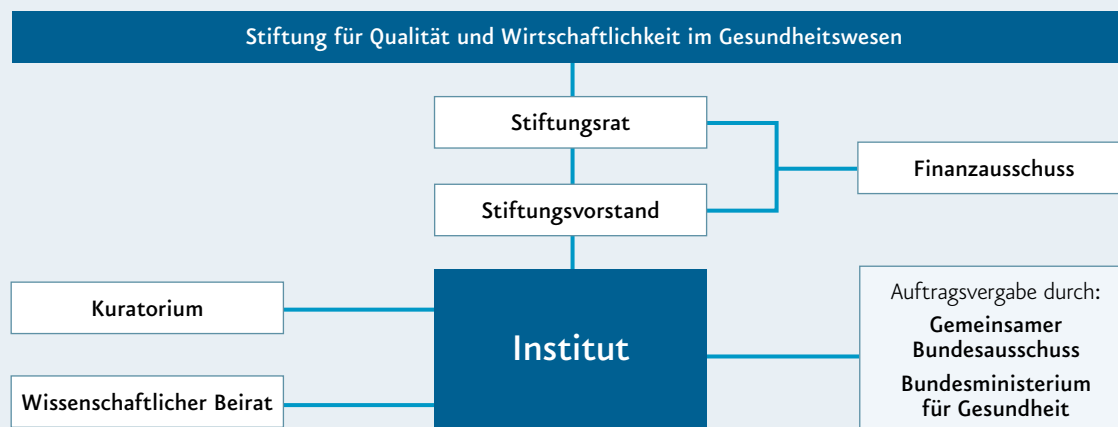
Gesetzlicher Rahmen

Rechtlich ist das IQWiG eine Einrichtung der Stiftung für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Es hat keine eigene Rechtspersönlichkeit und legt der ihm übergeordneten Stiftung regelmäßig Rechenschaft über seine Arbeit ab. Stiftungsrat und Stiftungsvorstand haben die Funktion

Jahresabschlüsse

Der Jahresabschluss des Instituts lag 2020 bei rund 26,78 Millionen (exakt 26 776 481,26 Euro). Der im November 2021 verabschiedete Haushaltsplan für 2022 sieht eine Summe von 31 185 000,00 Euro vor.

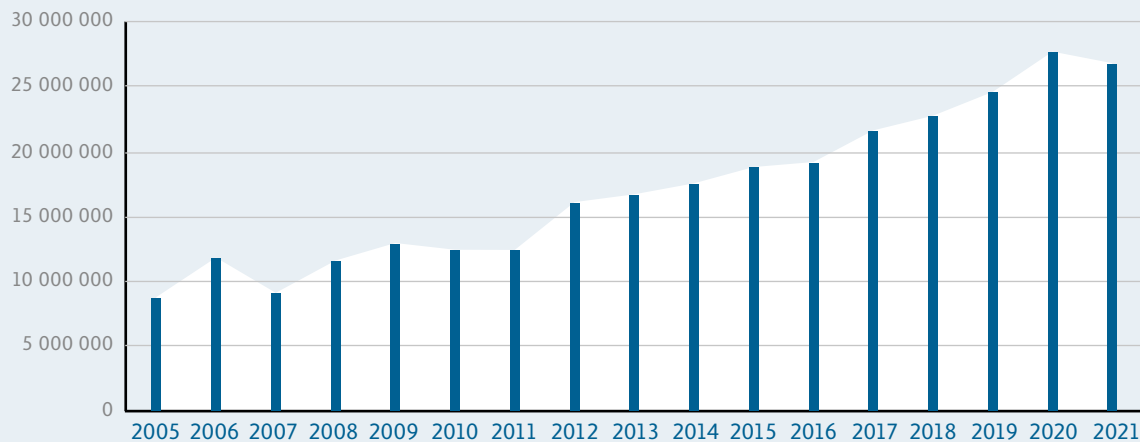
Der Aufbau der Stiftung



Stiftungsrat und Stiftungsvorstand haben die Funktion von Aufsichtsorganen.
Ein Kuratorium und ein Wissenschaftlicher Beirat beraten das Institut.
Aufträge erteilen der Gemeinsame Bundesausschuss und das Bundesgesundheitsministerium.

IQWiG 2021

Haushaltsvolumina 2005 bis 2021



IQWiG 2021

Systemzuschlag

Finanziert wird das Institut durch den sogenannten Systemzuschlag (vgl. § 139c SGB V) für stationäre und ambulante medizinische Leistungen in der gesetzlichen Krankenversicherung. Dieser setzt sich zusammen aus einem Zuschlag für jeden abzurechnenden Krankenhausfall und der zusätzlichen Anhebung der Vergütung für die ambulante vertragsärztliche und vertragszahnärztliche Versorgung. Der G-BA berechnet diesen Zuschlag jährlich neu. Er beinhaltet jeweils den Anteil für den G-BA, das IQWiG und das Institut für Qualitätssicherung und Transparenz im Gesundheitswesen (IQTIG). Der G-BA zieht den Betrag ein und leitet ihn an das Institut weiter. Die Höhe des Systemzuschlags für das Jahr 2021 betrug (für G-BA, IQWiG und IQTIG gemeinsam) im stationären Sektor 1,9 Euro und im ambulanten Sektor rund 5,6 Cent pro Fall.

WEBTIPPS

Alle Mitglieder der Organe und Gremien sind namentlich aufgeführt auf [IQWiG.de](https://www.iqwig.de). Die aktuelle Besetzung von Stiftungsrat, Stiftungsvorstand, Finanzausschuss, Kuratorium und Wissenschaftlichem Beirat ist zu finden unter:

[IQWiG.de](https://www.iqwig.de) > Über uns > Struktur des Instituts > Organe und Gremien

Die Satzung der Stiftung findet sich unter:

[IQWiG.de](https://www.iqwig.de) > Über uns > Aufgaben und Ziele > Gesetzliche Grundlagen

Näheres zu den gesetzlichen Rahmenbedingungen der IQWiG-Arbeit unter:

[IQWiG.de](https://www.iqwig.de) > Über uns > Aufgaben und Ziele > Gesetzliche Grundlagen

Näheres zu G-BA und BMG unter:

[g-ba.de](https://www.g-ba.de)
[bmg.bund.de](https://www.bmg.bund.de)

Näheres zum Systemzuschlag unter:

[IQWiG.de](https://www.iqwig.de) > Über uns > Aufgaben und Ziele > Auftraggeber und Finanzierung

[g-ba.de](https://www.g-ba.de) > Institution > Aufgabe [...] > Finanzierung/Systemzuschlag

Institutsleitung

Die Leitung wird auf Vorschlag des Stiftungsrats vom Vorstand bestellt und vertritt das Institut sowohl gegenüber den Organen und Gremien der Stiftung als auch gegenüber den Auftraggebern und der Öffentlichkeit. Institutsleiter Jürgen Windeler verantwortet die Umsetzung aller Aufgaben gemäß den mit dem G-BA vereinbarten Prioritäten. Dabei wird er unterstützt durch seinen Stellvertreter Stefan Lange. Beide tragen die Personalverantwortung und berichten dem Vorstand regelmäßig über die Arbeitsprozesse und -ergebnisse.

About us
 An introduction to IQWiG

die Ressorts und Stabsbereiche

Das IQWiG wächst. In seinem jetzigen Domizil, dem KölnTurm im Kölner MediaPark kann es keine weiteren Büroflächen mehr anmieten.

Mietvertrag unterschrieben

So wird das Institut im Jahr 2024 nach 13 Jahren im MediaPark wieder auf die andere Rheinseite ziehen, wo es schon von 2004 bis 2011 seinen Sitz hatte, damals allerdings in Köln-Kalk. 2024 geht es dann für die Beschäftigten nach Köln-Deutz in die Siegburger Straße 237. Dort entsteht ein neuer Büropark, in dem sich das IQWiG 8 000 Quadratmeter Büroflächen gesichert hat.

Hybrid-Veranstaltungen

Das Jahr 2021 stand pandemiebedingt im Zeichen der Hybrid-Veranstaltungen. Hier sammelte das IQWiG zahlreiche zukunftsweisende Erfahrungen bei der Organisation und Durchführung. Zum Beispiel beim Herbst-Symposium waren 85 Teilnehmerinnen und Teilnehmer vor Ort und 377 per Livestream zugeschaltet. „Über Hybrid-Veranstaltungen können wir die Erreichbarkeit unserer Veranstaltungen durch das Zuschalten von Interessierten erheblich erweitern. Dies ist durchaus eine Option, die wir auch für die Zukunft im Auge behalten werden“, zieht Pressesprecher Jens Flintrop Resümee.



246

Mitarbeiter und Mitarbeiterinnen waren zum 31.12.2021 im IQWiG beschäftigt; studentische Hilfskräfte, ruhende Beschäftigungsverhältnisse aufgrund von Elternzeiten und Teilzeitbeschäftigte mit eingerechnet. Der Stellenplan wies zu diesem Stichtag 206 „Vollzeitäquivalente“ auf – das heißt Stellen mit einer Arbeitszeit von 40 Stunden pro Woche.

Generalauftrag

Der sogenannte Generalauftrag ermöglicht es dem Institut, auch in eigener Regie Themen von grundlegender Bedeutung aufzugreifen und zu bearbeiten. Die Ergebnisse werden in Arbeitspapieren oder direkt in wissenschaftlichen Fachzeitschriften publiziert.

Arbeit unter Pandemie-Bedingungen

Eine besondere Herausforderung lag für alle Ressorts und Stabsbereiche auch 2021 erneut darin, alle Aufträge trotz Corona-Bedingungen fristgerecht abzuschließen. Das heißt: Viele pandemiebedingte Abwesenheiten der Beschäftigten sowie Projekt-Abstimmungen zwischen zahlreichen Home-office-Arbeitsplätzen durften die Abläufe nicht beeinträchtigen. „Wir sind stolz, dass wir auch trotz der widrigen Umstände alle Projekte fristgerecht abschließen konnten. Hier gilt mein ausdrücklicher Dank an alle, die zum Gelingen beigetragen haben“, betont Institutsleiter Jürgen Windeler.

Ressort Arzneimittelbewertung

Leitung: Thomas Kaiser, Beate Wieseler

Das Ressort vergleicht Arzneimittel mit anderen medikamentösen oder auch nicht medikamentösen Maßnahmen, um festzustellen, welche Vor- und Nachteile sie für Patientinnen und Patienten bieten. Dabei geht es um Arzneimittel, die in Deutschland zugelassen sind. Ausgangspunkt sind in der Regel Aufträge des G-BA. In die Bearbeitung bezieht es regelhaft auch externe Sachverständige und die Perspektive von Betroffenen (Patientinnen und Patienten) mit ein.

Die meisten Bewertungen führt das Ressort seit 2011 zu neu zugelassenen Arzneimitteln durch. Denn seitdem ist in Deutschland rechtlich festgelegt, dass Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen sofort nach Markteintritt eine Bewertung ihres Zusatznutzens durchlaufen müssen. So wird geprüft, ob das neue Arzneimittel einen Vorteil gegenüber der bisherigen Standardtherapie hat. Hierzu legt der pharmazeutische Unternehmer dem G-BA ein Dossier mit allen relevanten Daten vor. Der G-BA beauftragt sodann regelhaft das IQWiG mit der Bewertung. Das Institut begutachtet innerhalb von drei Monaten die Angaben der Hersteller in den Dossiers und veröffentlicht die Ergebnisse als Dossierbewertungen. Daraufhin fasst der G-BA einen Beschluss zum Zusatznutzen. Allein im Jahr 2021 versandte das Ressort 118 abgeschlossene Dossierbewertungen an den G-BA und erarbeitete zu diesen 42 Addenda bis März 2022.

Grundlage für andere Berichte, insbesondere zum Vergleich verschiedener Arzneimittel, die das Ressort bereits seit der Institutsgründung (2004) durchführt, ist dagegen die eigene systematische Recherche.

IQWiG im Dialog

Im Mai 2008 rief das IQWiG die Veranstaltungsreihe „IQWiG im Dialog“ ins Leben, um sich mit Vertreterinnen und Vertretern aus Wissenschaft und Industrie regelmäßig über grundlegende methodische Fragen auszutauschen.

Die Themen der Vorjahre waren:

- Umgang mit Skalen in der Nutzenbewertung (2021)
- Pandemiebedingt ausgefallen (2020)
- Liefern Kausalmodelle Belege für kausale Zusammenhänge? (2019)
- Estimands – Nützlich für die Nutzenbewertung? (2018)
- The IQWiG Methods in an International Context (2017)
- Sind strengere Kriterien zur Evidenzbewertung notwendig? (2016)
- Wie konfirmatorisch ist HTA? (2015)
- Nutzenbewertung bei Studien mit erlaubtem Behandlungswechsel (2014)
- Bedeutung der Zulassung für die Nutzenbewertung (2013)
- Unsicherheit in Nutzenbewertungen (2012)
- Heterogenität in Nutzenbewertungen (2011)
- Beurteilung klinischer Relevanz bei der Nutzenbewertung (2010)
- Nutzenbewertung ohne Schadensaspekte? (2009)
- Nutzenbewertung und Replikation von Studienergebnissen (2008)

🌐 WEBTIPP

Alle Vorträge der Veranstaltungsreihe IQWiG im Dialog finden sich hier:
[IQWiG.de > Veranstaltungen > IQWiG im Dialog](https://www.iqwig.de/de/veranstaltungen/iqwig-im-dialog)

Ressort Gesundheitsinformation

Leitung: Klaus Koch

Mit der Website gesundheitsinformation.de und der englischsprachigen Schwester informedhealth.org bietet das Ressort allen interessierten Bürgerinnen und Bürgern online unabhängige, evidenzbasierte und allgemein verständliche Informationen an. Die Texte, Grafiken und Videos der Online-Plattformen decken ein breites und wachsendes Themenspektrum ab. Neue Texte durchlaufen eine Begutachtung und Nutzertestung, bevor das IQWiG sie veröffentlicht. Ziel des Angebots ist es, Patientinnen und Patienten in ihrem Wissen und ihrer Kompetenz zu stärken, wenn gesundheitliche Entscheidungen anstehen. Zu diesem Zweck erstellt das Ressort auch Versicherteninformationen und Entscheidungshilfen im Auftrag des G-BA.

4,3 Millionen Nutzer

haben im monatlichen Durchschnitt 2021 auf die Gesundheitsinformationen des IQWiG zugegriffen (inklusive Nutzung bei Content-Partnern).



Im Verlauf des Jahres 2021 aktualisierte das Ressort kontinuierlich die verständlich geschriebenen, neutralen Informationen über die in Deutschland eingesetzten Corona-Impfstoffe auf seiner Website gesundheitsinformation.de. So griffen allein im Jahr 2021 mehr als sechs Millionen Interessierte auf die Website zu, um sich Informationen rund um COVID-19 zu beschaffen.

Vortrags- und Publikationstätigkeiten

Über ihre wissenschaftlichen Arbeitsergebnisse und Methoden berichten die Mitarbeiterinnen und Mitarbeiter in Vorträgen auf nationalen und internationalen Expertentreffen und in Form von Publikationen in anerkannten Fachzeitschriften (siehe Seite 51). Die Inhalte einiger Publikationen des Jahres 2020 sind in Infokästen in diesem Jahresbericht dargestellt.

Stabsbereich* Informationsmanagement

*ab 1. Januar 2022: Umwandlung in ein Ressort

Leitung: Siw Waffenschmidt

Ausgangspunkt für die Bewertungen des IQWiG ist die Recherche nach veröffentlichten wie unveröffentlichten Studien und entsprechender Fachliteratur, unter anderem in medizinischen Literaturdatenbanken und Studienregistern. Diese Querschnittsaufgabe übernimmt der Stabsbereich: Er entwickelt maßgeschneiderte Recherchestrategien für die unterschiedlichen Projekte und führt die Recherchen auch selbst durch. Er beschafft schließlich die relevante Literatur und sorgt dafür, dass sie in den IQWiG-Berichten korrekt zitiert wird. Bei der frühen Nutzenbewertung von Arzneimitteln (Dossierbewertungen) oder der Potenzialbewertung untersucht der Stabsbereich in den Herstellerdossiers oder in den Anträgen, ob Suchstrategie und Suchtechnik angemessen waren und das Suchergebnis vollständig ist. Zum 1. Januar 2022 ist der Stabsbereich Informationsmanagement in ein Ressort umgewandelt worden.

Besondere Aufmerksamkeit widmete der Stabsbereich 2021 der inhaltlichen Planung, Organisation und Vorbereitung einer internationalen Tagung, die im Juni 2022 in Köln stattfand. Unter dem Titel „Information Retrieval Meeting (IRM 2022), Transition into the Digital Age“ trafen sich dort unter der Tagungsleitung des Ressorts internationale Expertinnen und Experten für Informationsmanagement (information retrieval) und diskutierten Fragen der Automation und Digitalisierung ihres Fachgebiets.

Stabsbereich Internationale Beziehungen

Leitung: Alric Rüther

Der Stabsbereich ist für die Belange des Instituts im internationalen Kontext zuständig, koordiniert und pflegt weltweite Kontakte und vertritt das Institut in internationalen Gremien. Auch beteiligt er sich aktiv an transnationalen Projekten der evidenzbasierten Medizin und organisiert die Mitarbeit des IQWiG in dem von der Europäischen Union geförderten Kooperationsnetzwerk EUnetHTA. Das IQWiG war 2021 durch seinen Stabsbereich in zahlreichen internationalen Netzwerken und Fachgesellschaften in verschiedenen Funktionen vertreten (siehe Tabelle).

Auf internationalem Parkett vertreten im Jahr 2021

In Netzwerken und Fachgesellschaften	Funktion des IQWiG
HTA Network of Europe (geendet Juni 2021)	Wissenschaftlicher Experte für Deutschland
European Network for HTA (EUnetHTA) - Joint Action 3 (JA3) (geendet Juni 2021) - EUnetHTA-21 (ab September 2021)	■ JA3: - Mitglied im Executive Board - Lead Partner „Quality Management, Scientific Guidance and Tools“ (Arbeitspaket 6) ■ EUnetHTA-21 - Co-Chair Consortium Executive Board - Co-Chair Committee for Scientific Consistency and Quality (CSCQ)
Health Technology Assessment international	■ Vorsitz des Scientific Development and Capacity Building Committee ■ Mitglied im Global Policy Forum
International Network of Agencies for HTA (INAHTA)	■ Mitglied des Vorstands
International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research (ISPOR)	■ Mitglied des HTA Roundtable Europe

IQWiG, Stand 31. Dezember 2021

MITARBEITERPUBLIKATION

Sehr wenige Studien: Auswahl einer Methode für Metaanalysen

Ein Team aus IQWiG-Wissenschaftlerinnen und Wissenschaftlern hat einen methodischen Rahmen entwickelt, mit dessen Hilfe sich ein Modell für Metaanalysen auswählen lässt, wenn nur sehr wenige Studien vorhanden sind.

Publiziert wurde dieser methodische Ansatz im Kapitel 5 des Buchs „Meta-Research – Methods and Protocols“ (Editors: Evangelos Evangelou und Areti Angeliki Veroniki). Im Einzelnen geht es im Kapitel 5 darum, in welcher Weise ein geeignetes Modell mit einer adäquaten Schätzmethode zur Durchführung von Metaanalysen ausgewählt werden kann, wenn nur sehr wenige Studien vorliegen. Hierbei werden sowohl die Charakteristika der vorliegenden Studien als auch die Ergebnisse unterschiedlicher Schätzmethoden berücksichtigt.

Fazit: Im Fall sehr weniger Studien bietet sich häufig als beste Lösung an, keine quantitative Metaanalyse durchzuführen, sondern die Studienergebnisse in einer qualitativen Evidenz-Synthese zusammenzufassen.

Schulz A, Schürmann C, Skipka G, Bender R (2022) Performing meta-analyses with very few studies. In: Evangelou E., Veroniki A.A. (Eds) *Meta-Research. Methods in Molecular Biology*, Vol. 2345: 91-102. Humana, New York, NY. https://doi.org/10.1007/978-1-0716-1566-9_5

Stabsbereich
internationale Beziehungen

Stabsbereich Kommunikation

Leitung: Jens Flintrop

Der Stabsbereich ist die zentrale Anlaufstelle für die Medien sowie für die Nutzerinnen und Nutzer der IQWiG-Websites. Er verantwortet die Presse- und Öffentlichkeitsarbeit des Instituts und informiert auf IQWiG.de über die wissenschaftlichen Arbeitsergebnisse des IQWiG.

Herausforderungen in vielen Varianten kamen im Corona-Jahr 2021 auch wieder auf das „Veranstaltungsmanagement“ des Stabsbereichs zu. Die beiden etablierten IQWiG-Veranstaltungen „IQWiG im Dialog“ und „Herbst-Symposium“ mussten wegen der wechselnden Corona-Auflagen mehrmals umorganisiert werden und fanden schließlich beide als Hybrid-

Veranstaltungen statt – das heißt jeweils mit relativ wenigen Gästen vor Ort, aber per Livestream für viele Interessierte verfolgbar. Erstmals organisierte das Institut im Jahr 2021 eine Livestream-Informationsveranstaltung für externe Sachverständige. Hintergrund ist, dass das IQWiG laufend Fachärztinnen und Fachärzte sowie Gesundheitsfachpersonal aller Fachrichtungen sucht, die das Institut während der Projektarbeit begleiten und für medizinische Fragen zur Verfügung stehen.

Regulär lief daneben die Übersetzungsarbeit: Hier unterstützt der Stabsbereich die anderen Ressorts beim Verfassen und Überarbeiten von englischsprachigen wissenschaftlichen Texten wie Fachartikeln, Kongressbeiträgen oder Statements (Medical Writing) und übersetzt Auszüge von IQWiG-Berichten sowie die Texte auf iqwig.de ins Englische.



Ressort Medizinische Biometrie

Leitung: Ralf Bender

Das Ressort erstellt biometrische Bewertungen von Studienergebnissen und statistische Analysen von Daten. In dieser Querschnittsfunktion unterstützt es die anderen Fachressorts. Darüber hinaus bearbeitet es eigene Projekte zu methodischen Fragestellungen, beispielsweise zur metaanalytischen Zusammenfassung mehrerer Studien und zu indirekten Vergleichen. Die Expertinnen und Experten für Medizinische Biometrie beobachten kontinuierlich die aktuelle biometrische Fachliteratur und leisten einen Beitrag zur statistischen Fortbildung der Kolleginnen und Kollegen im Institut.

Ressort Nichtmedikamentöse Verfahren

Leitung: Stefan Sauerland

Im Mittelpunkt der Ressort-Arbeit stehen nicht medikamentöse Verfahren – also medizinische Behandlungsmethoden, die sich nicht oder nicht allein auf den Einsatz von Arzneimitteln stützen. Dazu zählen beispielsweise chirurgische, zahnmedizinische und psychotherapeutische Interventionen. Auch Diagnosemethoden, wie etwa bildgebende oder genetische Untersuchungen von Tumoren sowie Reihenuntersuchungen (Screenings) zur Früherkennung von Krankheiten, bewerten die Wissenschaftlerinnen und Wissenschaftler des Ressorts. Die Nutzenbewertungen zu diesen nicht medikamentösen Verfahren entstehen in der Regel auf Basis eines G-BA-Auftrags und in Zusammenarbeit mit externen Sachverständigen.

Darüber hinaus erstellt das Ressort für den G-BA zu Erprobungsanträgen sogenannte Potenzialbewertungen und bewertet neue Methoden mit Medizinprodukten hoher Risikoklasse jeweils auf Basis von Unterlagen, die Antragsteller oder Krankenhäuser eingereicht haben. Besonderheiten im Jahr 2021 waren die erstmalige Beschäftigung mit Modellierungen als Basis von Nutzenbewertungen sowie die Probleme mit den oft nur ungenau festgelegten PICO-Fragestellungen im Potenzialbereich.

MITARBEITERPUBLIKATION

Behandlungsqualität und Leistungsmenge. Gibt es einen Zusammenhang?

Eine Publikation zu den Onkologie-bezogenen Mindestmengenberichten

Im Rahmen des Beschlussverfahrens zur Festsetzung von Mindestmengen hat der G-BA das IQWiG inzwischen mit sechs wissenschaftlichen Bewertungen beauftragt, in denen das Institut jeweils den Zusammenhang zwischen Leistungsmenge und Qualität des Behandlungsergebnisses zu medizinischen Eingriffen bei bösartigen Neubildungen prüfen und darstellen sollte.

Themen der IQWiG-Berichte waren die Stammzell- und Lebertransplantation, chirurgische Verfahren beim Lungen- bzw. Mammakarzinom und komplexe Eingriffe am Pankreas bzw. Ösophagus. Die Qualität der Behandlungsergebnisse untersuchten die IQWiG-Wissenschaftlerinnen und Wissenschaftler in Studien, die zum Großteil aus den USA stammen, mithilfe der Zielgrößen Mortalität und Morbidität. Insbesondere zur Zielgröße Gesamtmortalität konnten sie in allen Berichten einen Zusammenhang zwischen der Leistungsmenge und der Qualität des Behandlungsergebnisses zugunsten einer höheren Leistungsmenge ableiten. Methodische Herausforderungen lagen unter anderem in der Adjustierung, der Heterogenität der Leistungsmengenkategorien sowie in der Qualität der Datenbanken in den Studien.

Fazit: Ein Zusammenhang zwischen der Leistungsmenge und der Behandlungsqualität konnte für ausgewählte Eingriffe bei bösartigen Neubildungen zugunsten einer höheren Leistungsmenge aufgezeigt werden. Wünschenswert wären aktuelle, qualitativ hochwertige Studien mit einer breiten Datenbasis aus dem deutschen Versorgungskontext.

Höfer E, Vosseberg F, Kromp M et al. Behandlungsqualität und Leistungsmenge. *Onkologe (Berl)* 2021; 27(10): 980-991. <https://dx.doi.org/10.1007/s00761-021-01004-8>.

MITARBEITERPUBLIKATION

Hürden abbauen für randomisierte versorgungsnahe Studien

Registerbasierte RCTs können dabei helfen, neue Arzneimittel in das Therapiespektrum einzuordnen. Dies lässt sich anhand der Behandlung der multiplen Sklerose zeigen.

Gern wird angenommen, dass neue Arzneimittel besser seien als die Medikamente, die bereits auf dem Markt sind. Um neue Wirkstoffe evidenzbasiert in das Therapiespektrum der betreffenden Erkrankung einordnen zu können, sind jedoch Vergleiche mit den bestehenden Therapieoptionen notwendig. Anhand der Behandlung der multiplen Sklerose lässt sich zeigen, wie registerbasierte RCTs (RCT = Randomized controlled Trial; randomisierte kontrollierte Studie) dabei helfen können.

Ein Autoren-Team unter Federführung von Beate Wieseler vom IQWiG und unter Beteiligung von Betreibern des NeuroTransData-Registers hat im Deutschen Ärzteblatt am Beispiel der hochaktiven schubförmig remittierenden multiplen Sklerose dargelegt, wie mithilfe registerbasierter RCTs hochwertige versorgungsnahe Erkenntnisse generiert werden können. Problematisch sei allerdings, betont das Autorenteam, dass die Durchführung registerbasierter RCTs im deutschen Gesundheitswesen aktuell durch hohe Hürden behindert werde. Ein ganz wesentliches Hindernis sei dabei die Finanzierung der Medikation für registerbasierte RCTs.

Fazit: Mithilfe von registerbasierten RCTs lassen sich Patientenpopulationen mit Relevanz für den Versorgungsalltag in Studien einschließen und so die Studiendurchführung beschleunigen und die Kosten für die Generierung hochwertiger Evidenz verringern. In einem weiteren Entwicklungsschritt wäre denkbar, so das Autorenteam, randomisierte Registerstudien als Plattform Trials durchzuführen, die niederschwellig weitere Interventionen aufnehmen können. So könnten neue Arzneimittel in wesentlichen Therapiefeldern regelhaft geprüft und in die Therapielandschaft eingeordnet werden. Die Hürden, die diesem Studientyp aktuell entgegenstehen, sollten im Interesse eines lernenden Gesundheitssystems unbedingt abgebaut werden.

Wieseler B, Bergmann A, Pul R et al. Randomisierte versorgungsnahe Studien: Gesetzliche Hürden abbauen. Dtsch Arzteb 2021; 118(38): A1694–A1696.

Stabsbereich Qualitätssicherung

Leitung: Stefanie Thomas

Die Mitglieder des Stabsbereichs führen für jeden Berichtstyp vor der Veröffentlichung eine fachlich-wissenschaftliche und eine formale Schlussprüfung durch. Diese beiden abschließenden Reviews dienen vor allem der Wahrung institutsweit konsistenter wissenschaftlicher Methoden und Verfahrensweisen, bis hin zu einer einheitlichen Terminologie. Sie sind dabei Teil eines umfassenden Systems zur Qualitätssicherung im IQWiG, das zahlreiche weitere qualitätssichernde Elemente enthält. Diese greifen im Verlauf der gesamten Berichterstellung, um die wissenschaftlich korrekte und gesetzeskonforme Auftragsbearbeitung sicherzustellen.

Zwei weitere ganz wesentliche Qualitätssicherungs-Elemente bilden die Prozessbeschreibungen (SOPs) und Dokumentenvorlagen. Sie gibt es für alle Berichtstypen des Hauses und sie ermöglichen dem IQWiG, seine Aufträge effizient und konsistent zu bearbeiten. Die zentrale Koordination und ständige Weiterentwicklung des gesamten Systems zur Qualitätssicherung liegt ebenfalls in der Verantwortung des Stabsbereichs.



Stabsbereich Recht

Leitung: Katja Borchard

Der Stabsbereich Recht vertritt die rechtlichen Interessen des Instituts. Er berät die Institutsleitung, die kaufmännische Geschäftsführung sowie alle Ressorts und Stabsbereiche in allen Rechtsfragen. Dazu fertigt er Rechtsgutachten an und erstellt, prüft oder verhandelt Verträge mit Dienstleistern, Lieferanten und Partnern, auch für europäische Kooperationen. Er verantwortet zudem das Vertragsmanagement des Instituts. Ferner bringt er seine juristische Expertise in Pro-

jekte des IQWiG mit ein, erstellt und prüft Prozessübersichten und Arbeitsanleitungen und koordiniert die Kooperation mit externen juristischen Beraterinnen und Beratern. Ebenso sind im Stabsbereich die Vergabestelle des Instituts, die Referentin Compliance und die Datenschutzkoordination angesiedelt. Er stellt die Binfunktion zum Datenschutzbeauftragten.

Als besonderes Aufgabengebiet in 2021 überprüfte der Stabsbereich regelmäßig die aktuellen Coronaschutz-Verordnungen, damit interne und externe Veranstaltungen regelkonform und für alle Beteiligten sicher durchgeführt werden konnten.

MITARBEITERPUBLIKATION

Zentralregister für klinische Studienberichte vonnöten

Ein solches Portal könne nicht nur Bewertungen für gesundheitspolitische Entscheidungen dienen, sondern auch Leitlinien zugutekommen und Verzerrungen in ärztlichen Fortbildungen oder Patienteninformationen entgegenwirken, argumentieren zwei IQWiG-Autorinnen in einer Open-Access-Publikation.

Klinische Studienberichte sind umfassende, standardisierte Berichte über klinische Studien, die pharmazeutische Unternehmen im Zuge von Zulassungsverfahren für Arzneimittel bei Behörden wie der European Medicines Agency (EMA) einreichen. In Deutschland haben der Gemeinsame Bundesausschuss und das IQWiG seit 2011 im Rahmen der frühen Nutzenbewertung Zugang zu diesen Dokumenten.

Mitarbeiterinnen und Mitarbeiter des Instituts haben bereits vor mehreren Jahren nachgewiesen, dass klinische Studienberichte im Vergleich zu Fachartikeln oder Registereinträgen mit Abstand die vollständigste Evidenz zu patientenrelevanten Endpunkten liefern – und damit die solideste Basis für unverzerrte Bewertungen medikamentöser Behandlungen sind.

In ihrer im Journal of European Continuing Medical Education (CME) erschienenen Publikation stellen Natalie McGauran und Beate Wieseler nun mögliche Einsatzgebiete klinischer Studienberichte jenseits der frühen Nutzenbewertung dar: Die Erstellung medizinischer Leitlinien, die ärztliche Fortbildung, aber auch Patienteninformationen

könnten sehr von einer umfassenden, unverzerrten Informationsbasis profitieren.

Damit das funktioniert, bedürfe es eines öffentlichen, weltweiten Zentralregisters. Denn bislang sei die Evidenz über zahlreiche Quellen verstreut, so die Autorinnen. In der von ihnen skizzierten Grundstruktur eines solchen Portals wären Basisinformationen unmittelbar verfügbar, während etwa anonymisierte individuelle Patientendaten aktiv angefragt werden müssten. Und sie schlagen eine Ausweitung dieses Ansatzes auch auf Studien zu Medizinprodukten und anderen nicht medikamentösen Verfahren vor.

Fazit: Da die Erfahrung lehre, dass freiwillige Selbstverpflichtungen der Industrie nicht ausreichen, sei zur Einrichtung eines Zentralregisters und zur verpflichtenden Einspeisung klinischer Studienberichte der Gesetzgeber gefragt.

McGauran N, Wieseler B. Centralised Full Access to Clinical Study Data Can Support Unbiased Guideline Development, Continuing Medical Education, and Patient Information. J Eur CME 2021; 10(1): 1989172. <https://dx.doi.org/10.1080/21614083.2021.1989172>.

Ressort Versorgung und Gesundheitsökonomie

Leitung: Lutz Altenhofen

Im Bereich Versorgung wertet das Ressort mit Unterstützung externer Sachverständiger nationale und internationale Leitlinien aus und erstellt hieraus Leitliniensynopsen für etablierte oder zur Einführung vorgesehene Disease-Management-Programme (DMP), (siehe Tabelle unten). Diese Synopsen beschreiben wichtige Eckpunkte eines fachlich empfohlenen Versorgungsstandards, welche Eingang in die vom G-BA erstellten DMP-Richtlinien finden. Seit 2018 untersucht der Bereich auch den Zusammenhang zwischen Leistungsmenge und Qualität unterschiedlicher medizinischer Interventionen in der stationären Versorgung auf der Grundlage systematischer Literaturrecherchen. Die Ergebnisse nutzt der G-BA, um Mindestmengen für spezifische Interventionen neu festzulegen oder ggf. zu ändern. Im Projekt ThemenCheck Medizin koordiniert der Bereich die Entstehung von jährlich vier bis fünf HTA-Berichten, die Teams aus externen Sachverständigen erstellen und bei denen sie den methodischen Standards des Instituts folgen sollen. Die Themenstellungen dieser Berichte

werden von Bürgerinnen und Bürgern vorgeschlagen. Seit 2020 unterstützt zudem das IQWiG unter Federführung des Bereichs Leitliniengruppen dabei, von der Arbeitsgemeinschaft der Wissenschaftlichen Medizinischen Fachgesellschaften (AWMF) verantwortete Leitlinien zu aktualisieren oder zu entwickeln. Hierzu stellt das IQWiG die aktuelle Evidenz dar.

Im Bereich Gesundheitsökonomie liegt der Schwerpunkt darauf, die versorgungsepidemiologischen Kennzahlen und Kostendaten der durch pharmazeutische Unternehmen beim G-BA eingereichten AMNOG-Dossiers zu bewerten. Die Wissenschaftlerinnen und Wissenschaftler begutachten, ob die Angaben zum Umfang der Zielpopulation in der gesetzlichen Krankenversicherung und zur Höhe der Jahrestherapiekosten plausibel und valide sind. Damit liefert der Bereich eine wissenschaftliche Grundlage für die Beschlüsse des G-BA und für die nachfolgenden Preisverhandlungen zwischen dem GKV-Spitzenverband und den jeweiligen pharmazeutischen Unternehmen. Ebenso arbeitet er kontinuierlich an methodischen Fragestellungen zu Kosten-Nutzen-Bewertungen von Arzneimitteln.

Zu welchen DMP gab das IQWiG wann Empfehlungen ab?

	Asthma bronchiale	Brustkrebs	COPD	Diabetes mellitus Typ 1	Diabetes mellitus Typ 2	Koronare Herzkrankheit (KHK)	Chronische Herzinsuffizienz	Rückenschmerz	Depressionen	Osteoporose	Rheumatoide Arthritis
Inkrafttreten des DMP	2005	2002	2005	2004	2002	2003	2018	2019	2018	2020	2021
Maßgebliche Aktualisierung	2017	2017	2016	2014	2016	2014	2018	2019	2019	-	-
IQWiG-Berichte vorgelegt											
2008	x	x	x			x					
2009						x					
2010											
2011				x	x	x					
2012											
2013	x		x								
2014		x									
2015							x	x			
2016						x				x	x
2017									x		x
2018				x		x				x	
2019					x						
2020			x								
2021	x	x					x				

IQWiG, Dezember 2021

Ressort Verwaltung

Die Verwaltung sichert die grundlegenden Geschäftsprozesse des Instituts. Sie begleitet die Arbeit der Stiftungs-Organen und -Gremien und steht deren Mitgliedern in allen Belangen der Stiftung und des Instituts als Ansprechpartnerin zur Verfügung. Daneben verantwortet sie fünf wesentliche Sachgebiete: Personalmanagement, Finanzen und Projektcontrolling, Informationstechnik und Facility Management.

Durch vorausschauende Innovationen und gemeinsames Engagement konnte das Ressort 2021 auch unter den Bedingungen der Corona-Pandemie reibungslose Betriebsabläufe im Institut gewährleisten. zum 31.12.2019

MITARBEITERPUBLIKATION

Patienten-berichtete Endpunkte (PROs): unterrepräsentiert in Fachinformationen

Ein IQWiG-Team hat analysiert, inwieweit PROs, die als Endpunkte in klinischen Studien zu neuen Arzneimitteln erfasst wurden, in Fachinformationen berichtet werden.

Bevor ein neuer Wirkstoff auf den Markt kommt, muss der Hersteller für seine Zulassung eine Fachinformation (engl. Summary of Product Characteristics, kurz SmPC) vorlegen. Diese soll alle relevanten Studiendaten und Angaben zur sicheren und wirksamen Anwendung des Arzneimittels enthalten, am besten aus randomisierten kontrollierten Studien (RCTs). Hoch relevant sind dabei auch Patienten-berichtete Endpunkte (engl. patient-reported outcomes, kurz PROs).

Ebenso müssen in Deutschland die pharmazeutischen Unternehmer für die frühe Nutzenbewertung von Arzneimitteln gemäß dem Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz (AMNOG) nach der Zulassung in ihren Dossiers die vollständige Evidenz zu einem neuen Wirkstoff vorlegen. Die anschließenden Dossierbewertungen des IQWiG berücksichtigen ausdrücklich auch PROs.

Für ihren Beitrag im Journal of Patient-Reported Outcomes untersuchte ein IQWiG-Team gemeinsam mit einem externen Sachverständigen von der Arzneimittelkommission

der deutschen Ärzteschaft zunächst, inwieweit in Dossierbewertungen berücksichtigte RCTs verwertbare Daten zu PROs enthalten – das war in rund drei Viertel der RCTs der Fall. Anschließend überprüften sie, ob diese Daten auch in den entsprechenden Fachinformationen berichtet wurden.

Fazit: In Fachinformationen zu neuen Arzneimitteln sind PROs deutlich unterrepräsentiert, denn nur aus 46 Prozent der RCTs mit verwertbaren Daten zu PROs werden diese auch in Fachinformationen berichtet. Die Analysen der Wissenschaftlerinnen und Wissenschaftler zeigen, dass Fachinformationen häufig wesentliche Studienergebnisse zu Symptomen und zur gesundheitsbezogenen Lebensqualität nicht enthalten. Fachinformationen sollten daher dringend verbessert werden, um die Patientenperspektive angemessen zu berücksichtigen.

Haag S, Junge L, Lotz F et al. Results on patient-reported outcomes are under-reported in summaries of product characteristics for new drugs. *J Patient Rep Outcomes* 2021; 5(1): 127.
<https://dx.doi.org/10.1186/s41687-021-00402-1>

Mitarbeit in wissenschaftlichen Gremien und Gutachtertätigkeiten

Ralf Bender

- ist seit Februar 2000 Statistischer Berater der „Cochrane Metabolic and Endocrine Disorders Group“ (Düsseldorf);
- ist seit Juni 2003 Mitglied der Zertifikatskommission „Medizinische Dokumentation“ der Deutschen Gesellschaft für Medizinische Informatik, Biometrie und Epidemiologie (GMDS) e. V. und des Deutschen Verbands Medizinischer Dokumentare (DVMD);
- ist seit August 2012 Mitglied im Sub-Committee „Statistics in Regulatory Affairs“ der International Society for Clinical Biostatistics (ISCB);
- ist seit Oktober 2014 stellvertretender Leiter der AG „Therapeutische Forschung“ der GMDS;
- war von Juli 2016 bis November 2021 im Wissenschaftlichen Beirat des Deutschen Diabetes-Zentrums (DDZ);
- ist seit Oktober 2017 Mitglied in der „Time-to-Event-Group“ der Grading of Recommendations Assessment, Development and Evaluation (GRADE) Working Group;
- wurde im April 2018 als Associate Editor in das Editorial Board der Zeitschrift PLoS One berufen;
- ist seit Januar 2021 gewähltes Mitglied in der internationalen Fachgesellschaft „Society for Research Synthesis Methods“ (SRSM);
- war im September und Oktober 2021 Gutachter für das Förderprogramm „Clinical Trials With a High Relevance for Patient Care“ des Bundesministeriums für Bildung und Forschung (BMBF).

Thomas Kaiser

- arbeitet seit 2016 als Mitglied bei der Charité-Initiative für Patienten mit Multipler Sklerose (MS) mit. Die Charité-Initiative erarbeitet unter anderem Studienkonzepte für nutzenbewertungsrelevante MS-Studien;
- ist seit 2021 Mitglied der Adhoc-Kommission „Versorgungsnahe Daten“ des Deutschen Netzwerks für Versorgungsforschung (DNVF);
- ist seit 2021 Mitglied der Querschnitts-Arbeitsgruppe „Qualität und Vernetzung“ des Nationalen Krebsplans;
- ist seit 2021 Mitglied des Wissenschaftlichen Beirats für das Projekt „Curriculum registerbasierte Forschung – REGIBA“ des DNVF.

Klaus Koch

- ist seit 2016 Mitglied im Fachbeirat „Nationale Aufklärungs- und Kommunikationsstrategie zu Diabetes mellitus“ der Bundeszentrale für gesundheitliche Aufklärung (BZgA);
- ist seit 2016 Mitglied des Wissenschaftlichen Beirats „Diabetes Surveillance“ des Robert Koch-Instituts;
- ist seit 2016 Mitglied des Wissenschaftlichen Beirats des Allergieinformationsdienstes am Helmholtz Zentrum München im Auftrag des Bundesministeriums für Gesundheit (BMG);
- ist seit 2018 Mitglied in der Querschnitts-Arbeitsgruppe „Qualität und Vernetzung“ (Q-AG QV) im Rahmen des Nationalen Krebsplans;
- ist seit 2018 Mitglied in der Querschnitts-Arbeitsgruppe „Gesundheitskompetenz und Patientenorientierung in der Onkologie“ im Rahmen des Nationalen Krebsplans;
- ist seit 2019 stellvertretender Vorsitzender des Wissenschaftlichen Beirats der Cochrane Deutschland Stiftung.

Stefan Lange

- ist seit 2004 Mitglied und Schriftführer der Zertifikatskommission „Biometrie in der Medizin“ der GMDS und der Deutschen Region der Internationalen Biometrischen Gesellschaft (IBS-DR);
- ist seit 2013 Vorsitzender des Beirats des Studienzentrums der Deutschen Gesellschaft für Chirurgie (SDGC);
- wurde für die Dauer von fünf Jahren – beginnend ab Januar 2016 – von der Deutschen Krebshilfe in ihren Fachausschuss Krebsfrüherkennung berufen und wurde 2018 zum Ausschuss-Vorsitzenden gewählt; 2021 wurde seine Berufung in den Fachausschuss um fünf weitere Jahre verlängert;
- ist als Ausschuss-Vorsitzender des Fachausschusses Krebsfrüherkennung der Deutschen Krebshilfe automatisch auch im Beirat der Deutschen Krebshilfe.

Claudia Mischke

- ist seit 2015 im Wissenschaftlichen Beirat des Instituts für Bildungs- und Versorgungsforschung FH Bielefeld;
- arbeitet seit 2016 als Mitglied bei unterschiedlichen Review Boards im BMBF mit.

Sarah Mostardt

- ist seit 2009 Mitglied in der unabhängig arbeitenden Arbeitsgruppe „Erhebung und Nutzung von Sekundärdaten“ (AGENS).

Alric Rütger

- leitet die Arbeitsgruppe HTA der GMDS seit ihrer Gründung im Jahr 2005;
- ist Mitglied des “HTA Roundtable Europe” der International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research (ISPOR) seit seiner Gründung im Jahr 2006;
- hat seit 2016 die Co-Leitung des Fachbereiches HTA des Deutschen Netzwerks Evidenzbasierte Medizin (DNEbM) inne;
- leitet seit 2017 das „Scientific Development and Capacity Building Committee“ (SDCB) von Health Technology Assessment international (HTAi); Mitglied des Vorstands 2015 bis 2020; Mitglied des Executive Teams des International Scientific Program Committees der Jahrestagung 2022;
- ist Mitglied des Vorstands des International Network of Agencies for HTA (INAHTA) seit 2021: Vorsitz des internationalen External Partnership Committees.

Stefan Sauerland

- ist seit 2019 vom Bundesamt für Strahlenschutz (BfS) als Sachverständiger für Früherkennungsuntersuchungen benannt;
- arbeitet seit 2020 im wissenschaftlichen Beirat des Austrian Institute for Health Technology Assessment (AIHTA) mit;
- wurde 2021 zum Schriftführer des EbM-Netzwerks gewählt;
- hat 2021 im Zuge einer nebenberuflichen Lehrtätigkeit an der Universität zu Köln gemeinsam mit Stephanie Stock und Karl W. Lauterbach die vierte Auflage eines Lehrbuches für Gesundheitsökonomie mitherausgegeben.

Christoph Schürmann

- ist seit September 2020 Mitglied in der „Surrogate Outcomes Project Group“ der Grading of Recommendations Assessment, Development and Evaluation (GRADE) Working Group.

Anja Schwalm

- wurde 2021 in den erweiterten Vorstand der Deutschen Gesellschaft für Gesundheitsökonomie (dggö) aufgenommen.

Siw Waffenschmidt

- ist Ko-Sprecherin im neu gegründeten Fachbereich Informationsmanagement im DNEbM (siehe oben);
- ist seit 2021 im Steering Committee der Interest Group on Information Retrieval der HTAi.

Jürgen Windeler

- ist seit 2006 außerordentliches Mitglied der Arzneimittelkommission der deutschen Ärzteschaft;
- ist seit März 2007 Mitglied im Wissenschaftlichen Beirat der Unabhängigen Patientenberatung Deutschland (UPD);
- zählt seit Dezember 2008 zu den Mitgliedern der Kommission für Gesundheitsberichterstattung und Gesundheitsmonitoring des Robert Koch-Instituts;
- ist seit Juli 2016 Mitglied im Wissenschaftlichen Beirat des Instituts für Qualität und Transparenz im Gesundheitswesen (IQTIG);
- ist seit November 2017 Mitglied im Stiftungsrat der Cochrane Deutschland Stiftung.

Yvonne Zens

- wurde 2021 erneut als Mitglied der Kommission „Evidenzbasierte Methoden der Risikobewertung“ am Bundesinstitut für Risikobewertung (BfR) ausgewählt;
- hat 2021 in der Kommission „Evidenzbasierte Methoden der Risikobewertung“ am Bundesinstitut für Risikobewertung (BfR) mitgearbeitet.

Auf einen Blick

Ob es um die Publikation von Nutzenbewertungen und wissenschaftlichen Ergebnissen oder um die Tätigkeit in wissenschaftlichen Gremien geht: Die Arbeit des IQWiG ist transparent.

2004 bis 2021

1439 Aufträge

erhielt das IQWiG insgesamt von 2004 bis zum 31. Dezember 2021 von G-BA und BMG. Davon hat es im selben Zeitraum 1315 abgeschlossen. 57 Aufträge wurden zurückgenommen. Keine sind bis auf Weiteres ruhend gestellt.



46 Generalauftrags-Projekte

hat das IQWiG insgesamt von 2004 bis zum 31. Dezember 2021 im Rahmen des Generalauftrags auf den Weg gebracht. Davon hat es im selben Zeitraum 38 abgeschlossen. 3 Bearbeitungsbeschlüsse wurden zurückgenommen.

Der Generalauftrag ermöglicht es dem Institut, auch in eigener Regie Fragen von grundlegender Bedeutung aufzugreifen und zu bearbeiten.

23 HTA-Berichte (ThemenCheck Medizin)

hat das IQWiG insgesamt von 2017 bis zum 31. Dezember 2021 im Rahmen des ThemenCheck Medizin auf den Weg gebracht. Davon sind 10 abgeschlossen.



Das Jahr 2021

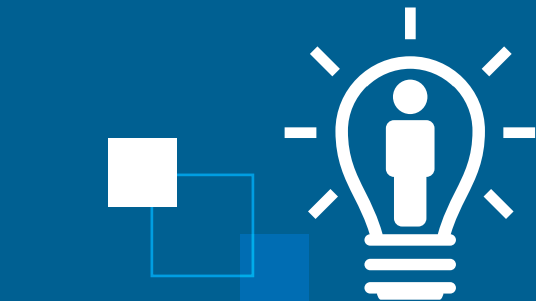
256 abgeschlossene wissenschaftliche Bewertungen



- 7 Berichte
- 118** Dossierbewertungen (ohne Orphan Drugs)
- 42 Addenda zu Dossierbewertungen
- 11 Addenda zu Patientenzahlen in den Dossierbewertungen
- 28 Dossierbewertungen von Orphan-Drug-Dossiers
- 2 Addenda zu Orphan-Drug-Dossierbewertungen
- 3 Rapid Reports
- 1 Addendum zu einem Rapid Report
- 6 Potenzialbewertungen
- 2 Addenda zu Potenzialbewertungen
- 8 Bewertungen gemäß § 137h SGB V
- 10 Addenda zu Bewertungen gemäß § 137h SGB V
- 2 HTA-Berichte
- 3 Arbeitspapiere
- 13** Evidenzberichte

Hinzu kamen 8 Projektskizzen, 9 Berichtspläne und 7 Vorberichte. Das IQWiG prüfte und veröffentlichte 6 Berichtsprotokolle für HTA-Berichte und 6 vorläufige HTA-Berichte.

(Stand 31.12.2021)



59 wissenschaftliche Publikationen, Vorträge oder Poster

haben IQWiG-Mitarbeiterinnen und Mitarbeiter 2021 veröffentlicht. Die Inhalte einiger dieser Publikationen sind in Infokästen in diesem Jahresbericht dargestellt. Teilweise wurden die Vorträge oder Poster auf virtuellen Veranstaltungen präsentiert.



IQWiG-Chronik

2021

DEZEMBER

Auch **Arzneimittel gegen seltene Leiden** (Orphan Drugs) sollten bei Markteintritt ein reguläres Nutzenbewertungsverfahren durchlaufen. Mit diesem Ergebnis schließen IQWiG-Beschäftigte eine Auswertung zum Privileg des fiktiven Zusatznutzens bei Orphan Drugs ab.

NOVEMBER

Das IQWiG veranstaltet sein **15. Herbst-Symposium** unter dem Titel: „Kommerzialisierung im Gesundheitswesen - Zeit für Kosten-Nutzen-Bewertungen?“

Die Zugriffe auf Corona-Impfstoff-Texte sind schrittweise auf **bis zu drei Millionen pro Monat** gestiegen. Seit Dezember 2020 veröffentlicht das IQWiG nach und nach evidenzbasierte Informationen zu den Corona-Impfstoffen auf gesundheitsinformation.de und aktualisiert sie bei Bedarf.

OKTOBER

Die frühe Nutzenbewertung von Arzneimitteln hat **Auswirkungen auf die Gesundheitsversorgung** in Deutschland. Das bewährte Verfahren liefert nicht nur fundierte Grundlagen für Preisentscheidungen, sondern beeinflusst auch die Patientenversorgung. Nachzulesen in einer Publikation von IQWiG-Beschäftigten im Journal Medical Writing.

SEPTEMBER

Anhand der Behandlung der multiplen Sklerose lässt sich zeigen, wie mithilfe von **registerbasierten RCTs** Evidenz generiert werden kann. Nachzulesen in einer Publikation von IQWiG-Beschäftigten in einer Publikation im Deutschen Ärzteblatt.

Methodische Vorbereitungen zur Umsetzung der **EU-HTA-Verordnung** starten mit IQWiG und G-BA. Das Institut und der G-BA sind Teile eines Konsortiums, das die methodischen Grundlagen für eine gemeinsame Bewertung von Gesundheitstechnologien in der EU ab 2024 erarbeitet.

AUGUST

Das Institut eröffnet die Diskussion über den Entwurf der **Version 6.1.** seiner Allgemeinen Methoden.

JULI

COVID-19-Erkrankte mit Lungenentzündung, die noch keine High-Flow-Sauerstofftherapie benötigen, profitieren von Remdesivir: Sie erholen sich schneller und das Risiko zu versterben sinkt. Für schwerer Erkrankte ist dies nicht belegt. Zu diesem Ergebnis kommt das IQWiG in einer Dossierbewertung.

JUNI

Wann kommt ein **Gelenkersatz bei Kniearthrose** infrage? Gibt es Alternativen? Dazu legt das IQWiG eine Entscheidungshilfe vor. Sie soll Betroffene bei der Entscheidung für oder gegen eine Gelenkersatzoperation unterstützen.

Unter dem Motto „Externer Sachverstand aus Klinik und Praxis gesucht!“ veranstaltet das IQWiG eine Informationsveranstaltung für neue oder bereits registrierte **externe Sachverständige**.

2020

- MAI** — Das IQWiG beteiligt sich in der Zeitschrift „Das Gesundheitswesen“ an der Diskussion über die Evaluation von Interventionseffekten mittels **versorgungsnaher Daten** und betont dabei, dass es hierzu noch zahlreicher Vorarbeiten bedürfe.
- MÄRZ** — Das IQWiG identifiziert Eingriffe und Eingriffsgruppen, bei denen Patientinnen und Patienten von einem **Zweitmeinungsverfahren** besonders profitieren könnten. Es unterbreitet 15 Vorschläge für eine Ausweitung des Verfahrens.
- FEBRUAR** — Aktuelle Beispiele belegen, dass die vom IQWiG neu festgelegte **15-Prozent-Schwelle** für die Anerkennung von Responderanalysen in der frühen Nutzenbewertung von Arzneimitteln funktioniert.
- JANUAR** — Nach Nutzertesting und Anhörung hat das IQWiG eine zweiteilige Versicherteninformation überarbeitet, die Schwangere bei der Entscheidung unterstützt, ob **vorgeburtliche Untersuchungen** - und wenn ja welche - für sie sinnvoll sein könnten.
- DEZEMBER** — Im 16. Jahr seines Bestehens hat das IQWiG sein **1000. Gutachten** erstellt. Bewertungsgegenstand war Bulevirtid, ein Orphan Drug zur Behandlung einer seltenen Form der chronischen Hepatitis.
- Das Institut veröffentlicht auf gesundheitsinformation.de Kurzinformationen über die ersten in Europa zugelassenen **Corona-Impfstoffe**.
- SEPTEMBER** — Am 1. September startet das **Nationale Gesundheitsportal** gesund.bund.de. Das IQWiG, der Krebsinformationsdienst und das Robert Koch-Institut liefern dem Portal evidenzbasierte Gesundheitsinformationen zu.
- JUNI** — Damit die **Corona-Diagnostik** in Europa und weltweit richtig eingesetzt wird, beteiligt sich das IQWiG auf Anfrage der EU-Kommission an einem europäischen Projekt zur Bewertung von Antikörpertests. Aufgrund der hohen Dringlichkeit, mit der die Bewertungsergebnisse benötigt wurden, half das IQWiG dabei, den Bericht in nur sechs Wochen fertig zu stellen.
- JANUAR** — Nach dem Willen des Gesetzgebers sollen auch versorgungsnaher Daten in die frühe Nutzenbewertung von Arzneimitteln einfließen können, um Evidenzlücken zu schließen. Deshalb erstellt das IQWiG im Auftrag des G-BA ein Konzept zur **Generierung versorgungsnaher Daten** und deren Auswertung. Ergebnis: Qualitativ hochwertige Registerdaten eignen sich für die erweiterte Nutzenbewertung von Arzneimitteln.
- Der Nutzen wiegt den Schaden nicht auf, heißt es in der Bewertung des IQWiG zum Screening des Prostatakarzinoms mittels **PSA-Test**: Zwar erspart ein PSA-Screening einigen Patienten die Belastungen einer metastasierten Krebserkrankung, die Schäden durch Überdiagnosen und Übertherapie überwiegen jedoch.

2019

JUNI

Das IQWiG schließt den ersten von acht Aufträgen zu der Frage nach dem Zusammenhang zwischen **Leistungsmenge und Qualität** bei komplexen Operationen ab, in diesem Fall der Stammzelltransplantation (Projektnummer V18-02).

JANUAR

Premiere bei ThemenCheck Medizin: Das IQWiG legt den Entwurf für den **ersten HTA-Bericht** vor und bittet um Stellungnahmen. Thema ist die Musiktherapie bei Krebs.

Das IQWiG unterstützt erstmals Fachgesellschaften bei der Erstellung einer interdisziplinären **S3-Leitlinie**. Studien zu Fragen rund um das Thema „Vaginale Geburt“ wurden recherchiert, bewertet und einer Leitliniengruppe zur Verfügung gestellt. Diese lobt die hohe Qualität der IQWiG-Berichte.

2017

NOVEMBER

Um Ergebnisse von Studien von Medizinprodukte-Herstellern künftig besser nutzen zu können, bietet das IQWiG den Unternehmen eine Vereinbarung für mehr Transparenz an. Zu diesem Zweck hat das Institut einen **Mustervertrag** aufgesetzt und mit maßgeblichen Herstellerverbänden abgestimmt. Darin ist die vertrauliche Nutzung von Studiendokumenten geregelt.

2016

NOVEMBER

Das IQWiG legt die **Entscheidungshilfe Mammografie-Screening** in seiner finalen Fassung vor. Die 18-seitige Broschüre klärt Frauen zwischen 50 und 69 Jahren darüber auf, welche Vor- und Nachteile eine Teilnahme am Mammografie-Screening-Programm mit sich bringt.

JULI

Die neue Website „**ThemenCheck Medizin**“ beim IQWiG startet. Bürgerinnen und Bürger können hier online ihren Themenvorschlag für Bewertungen von medizinischen Untersuchungs- und Behandlungsverfahren einreichen.

2015

JULI

Das **GKV-Versorgungsstärkungsgesetz** (GKV-VSG) tritt in Kraft. Es ergänzt das Sozialgesetzbuch V um den § 137h, der unter bestimmten Umständen eine Bewertung von Medizinprodukten mit hohem Risiko vorsieht. Ferner bestätigt das GKV-VSG das internationale Engagement des IQWiG und überträgt ihm die Aufgabe, HTA-Berichte auf Vorschlag von Bürgerinnen und Bürgern erstellen zu lassen. Diese Aufgabe oblag bislang dem Deutschen Institut für Medizinische Dokumentation und Information (DIMDI).

2014

MAI

Die European Medicines Agency (EMA) veröffentlicht einen Entwurf neuer Regeln zur Veröffentlichung klinischer Studiendaten. Er beinhaltet starke Einschränkungen bei der **Nutzung von Studiendaten**. Das IQWiG protestiert in einer Stellungnahme gegen die sogenannten „screen-only“-Regeln.

2013	APRIL	Das 14. SGB-V-Änderungsgesetz setzt die Nutzenbewertung von Arzneimitteln aus, die vor 2011 auf den Markt gekommen sind (Bestandsmarkt). Daraufhin stoppt das IQWiG alle laufenden Bestandsmarktbewertungen.
	OKTOBER	Das IQWiG veröffentlicht die erste Kosten-Nutzen-Bewertung , Gegenstand sind Antidepressiva.
	JUNI	Das Institut bearbeitet erste Potenzialbewertungen gemäß GKV-VStG: Bescheinigt das IQWiG der neuen Methode ein Potenzial, kann der Hersteller beim G-BA eine Erprobung beantragen.
2012	JANUAR	Das Gesetz zur Verbesserung der Versorgungsstrukturen in der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV-VStG) tritt am 1.1.2012 in Kraft. Hersteller und Anbieter von neuen, nicht medikamentösen Untersuchungs- oder Behandlungsmethoden haben nun prinzipiell die Möglichkeit, beim G-BA eine Erprobung zu beantragen, wenn ein Potenzial vorliegt. Die Bewertung des Potenzials einer Untersuchungs- oder Behandlungsmethode obliegt dem IQWiG. Die Ergebnisse einer negativen Bewertung dürfen laut Gesetz nicht veröffentlicht werden.
2011	OKTOBER	Die erste Dossierbewertung gemäß § 35a des SGB V (Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz, AMNOG) wird veröffentlicht: Bewertet wird der Wirkstoff Ticagrelor, ein Thrombozyten-Aggregationshemmer.
2010	DEZEMBER	Der Deutsche Bundestag verabschiedet das AMNOG ; das BMG erlässt eine entsprechende Rechtsverordnung (AM-Nutzen-V). Beide treten zum 1. Januar 2011 in Kraft.
	SEPTEMBER	Prof. Dr. Jürgen Windeler tritt sein neues Amt als Leiter des IQWiG an.
2009	JUNI	Das IQWiG wendet sich an die Öffentlichkeit , da der Hersteller eines bestimmten Antidepressivums eine größere Menge von relevanten Studienergebnissen nicht vorlegt, die aber für die weitere Bearbeitung eines Auftrags notwendig sind. Aufgrund der in den Medien geführten Diskussion reicht der Hersteller Daten nach.
2008	NOVEMBER	Das Sozialgericht Berlin bestätigt in erster Instanz die Richtlinienentscheidung des G-BA zu kurzwirksamen Insulinanaloga für Diabetes mellitus Typ 2 und bestätigt dem IQWiG, dass es allen Anforderungen an wissenschaftliche Sorgfalt und formale Korrektheit genügt. Damit kommt gesetzeskonformen Bewertungen des IQWiG eine Richtigkeitsgewähr zu.

2007

APRIL

Nach dem GKV-Wettbewerbsstärkungsgesetz (GKV-WSG) kann das IQWiG bei Arzneimitteln nicht nur den Nutzen, sondern auch das **Kosten-Nutzen-Verhältnis** bewerten.

2006

JULI

Der G-BA fällt die **erste Richtlinienentscheidung** aufgrund eines IQWiG-Berichts (zu kurzwirksamen Insulinanaloga bei Typ-2-Diabetes).

MÄRZ

Der Wissenschaftliche Beirat des IQWiG nimmt Stellung zur aktuellen Diskussion um **kurzwirksame Insulinanaloga** und mahnt mehr Sachlichkeit in der Debatte an.

FEBRUAR

Das Institut geht mit einer eigenen Website für Patienteninformationen online: www.gesundheitsinformation.de.

2005

SEPTEMBER

Das Institut legt seine **erste umfassende Nutzenbewertung** in Form eines „Arbeitspapiers“ vor („Statine unter besonderer Berücksichtigung von Atorvastatin“).

MÄRZ

Das **Methodenpapier Version 1.0** wird in der endgültigen Fassung veröffentlicht.

2004

DEZEMBER

Der G-BA erteilt dem Institut den sogenannten **Generalauftrag**. Damit kann das IQWiG auch in eigener Regie relevante Themen aufgreifen und bearbeiten.

OKTOBER

Das Institut nimmt mit insgesamt **11 Mitarbeiterinnen und Mitarbeitern** unter Leitung von Prof. Dr. Peter Sawicki seine Arbeit auf.

2003

OKTOBER

Nach dem Bundestag verabschiedet auch der Bundesrat den Entwurf für das „Gesetz zur Modernisierung der gesetzlichen Krankenversicherung“ (GKV-Modernisierungsgesetz), der unter anderem die **Gründung eines Qualitätsinstituts** in Trägerschaft der Selbstverwaltung vorsieht.



Impressum

Herausgeber

Stiftung für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen,
rechtsfähige Stiftung des bürgerlichen Rechts, Trägerin des Instituts
für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG)
Im Mediapark 8
50670 Köln

Vertretungsberechtigt

Prof. Dr. med. Jürgen Windeler (Institutsleiter)
Priv.-Doz. Dr. med. Stefan Lange (Stellvertretender Institutsleiter)
Vorstand der Stiftung

Tel: +49 221 35685-0

Fax: +49 221 35685-1

E-Mail: info@iqwig.de

Internet

iqwig.de

gesundheitsinformation.de

themencheck-medizin.iqwig.de

Redaktion

Dr. phil. Beatrice Wolter
Jens Flintrop (verantwortlich)
c/o IQWiG
Im Mediapark 8
50670 Köln

Fotos

Seite 12-15, 29, 31, 49: Bettina Flitner
Alle anderen: Ralf Baumgarten

Grafische Konzeption und Design

Désirée Gensrich, dbgw

Druck

purpur GmbH



www.iqwig.de