

Ausführungsbestimmungen zur wissenschaftlichen Methodik gemäß § 13 Abs 4 der Geschäftsordnung des Bewertungsboards

Präambel

Die Geschäftsstelle des Bewertungsboards gemäß § 62d KAKuG hat gemäß § 13 Abs 4 der Geschäftsordnung (GO) explizit Ausführungsbestimmungen zur wissenschaftlichen Methodik im Sinne der §§ 10 (medizinisch-therapeutischer Zusatznutzen) und 11 (Wirtschaftlichkeitskriterien) der GO zu erarbeiten.

Gemäß § 10 Abs 1 GO werden unter dem Begriff des medizinisch-therapeutischen Zusatznutzens die nachweislichen positiven Effekte einer Arzneispezialität auf patient:innenrelevante Endpunkte im Vergleich zu vorhandenen und zweckmäßigen therapeutischen Alternativen verstanden. Sofern solche zweckmäßigen therapeutischen Alternativen nicht verfügbar bzw. in nicht relevanter Form verfügbar sind, sollen Nutzenkategorien hinsichtlich des möglichen medizinisch-therapeutischen Zusatznutzens anhand des bis dorthin vorliegenden Status quo der medizinisch-therapeutischen Behandlungsmöglichkeiten beschrieben werden.

Gemäß § 1 GO bleiben unabhängig von der Bewertung und nachfolgenden Anwendungsempfehlungen (§§ 10 und 11 GO) die leistungsrechtlichen Ansprüche der Patient:innen auf Behandlung mit und Abgabe von Arzneispezialitäten gemäß § 8 Abs. 2 und § 19a KAKuG sowie § 136 und § 350 ASVG, § 64 B-KUVG, § 92 GSVG und § 86 BSVG jedenfalls gewahrt.

Definition der Kategorien des Zusatznutzens gemäß § 10 Abs 3 GO

§ 1 (1) Die zu bewertenden Arzneispezialitäten sollen ausgehend von der Zusatznutzenbewertung entsprechend dem Ausmaß ihres medizinisch-therapeutischen Zusatznutzens gegenüber vorhandenen therapeutischen Alternativen folgenden Kategorien zugeordnet werden:

1. Ein wesentlicher medizinisch-therapeutischer Zusatznutzen einer Arzneispezialität gegenüber vorhandenen therapeutischen Alternativen besteht, wenn im Vergleich zu diesen erhebliche Verbesserungen von patient:innenrelevanten Endpunkten zu erwarten sind, wie insbesondere eine Heilung, eine erhebliche Verlängerung der Überlebensdauer, eine langfristige Freiheit von schwerwiegenden bzw. schweren Symptomen oder Folgekomplikationen, eine erhebliche Verbesserung der Lebensqualität oder die weitgehende Vermeidung schwerwiegender bzw. schwerer Nebenwirkungen (**Kategorie 1**).

2. Ein medizinisch-therapeutischer Zusatznutzen einer Arzneispezialität gegenüber vorhandenen therapeutischen Alternativen besteht, wenn im Vergleich zu diesen deutliche Verbesserungen von patient:innenrelevanten Endpunkten zu erwarten sind, wie insbesondere eine moderate Verlängerung der Lebensdauer, eine für die Patient:innen spürbare Linderung der Erkrankung bzw. eine bedeutsame Verbesserung der Lebensqualität, eine Abschwächung schwerwiegender bzw. schwerer Symptome oder Folgekomplikationen, eine relevante Verringerung nicht schwerwiegender bzw. schwerer Symptome oder Folgekomplikationen, eine relevante Vermeidung schwerwiegender bzw. schwerer Nebenwirkungen oder eine bedeutsame Vermeidung anderer (nicht schwerwiegender bzw. schwerer) Nebenwirkungen (**Kategorie 2**).
3. Ein moderater medizinisch-therapeutischer Zusatznutzen einer Arzneispezialität gegenüber vorhandenen therapeutischen Alternativen besteht, wenn im Vergleich zu diesen bisher nicht erreichte moderate und nicht nur geringfügige Veränderungen von patient:innenrelevanten Endpunkten zu erwarten sind, wie insbesondere eine jegliche Verlängerung der Überlebensdauer, eine jegliche Verringerung schwerwiegender bzw. schwerer Symptome oder Folgekomplikationen, eine jegliche Verringerung schwerwiegender bzw. schwerer Nebenwirkungen oder eine relevante Vermeidung anderer (nicht schwerwiegender bzw. schwerer) Nebenwirkungen (**Kategorie 3**).
4. Ein gleicher oder ähnlicher medizinisch-therapeutischer Nutzen einer Arzneispezialität gegenüber vorhandenen therapeutischen Alternativen besteht, wenn im Vergleich zu diesen keine oder geringfügige Veränderungen von patient:innenrelevanten Endpunkten zu erwarten sind (**Kategorie 4**).
5. Ein geringerer medizinisch-therapeutischer Nutzen einer Arzneispezialität gegenüber vorhandenen therapeutischen Alternativen besteht insbesondere, wenn nachteilige Effekte in patient:innenrelevanten Endpunkten im Vergleich überwiegen (**Kategorie 5**).
6. Ein medizinisch-therapeutischer Zusatznutzen gegenüber vorhandenen therapeutischen Alternativen besteht, ist aber mangels wissenschaftlicher Datengrundlage nicht vollumfänglich quantifizierbar, wie etwa im Falle von Arzneispezialitäten zur Behandlung von Seltenen Erkrankungen ("Orphan Drugs"). In diesem Fall ist eine vergleichsweise Zuordnung des Zusatznutzens entsprechend der Kategorien 1 bis 5 vorzunehmen.

(2) Bestehen zum Zeitpunkt der Bewertung nachweislich keine zweckmäßigen therapeutischen Alternativen bzw. sind diese nicht in relevanter Form verfügbar, so hat die Bewertung und Kategorisierung des medizinisch-therapeutischen Zusatznutzens gemäß Abs 1 in Form einer vergleichweisen Zuordnung des Zusatznutzens entsprechend der Kategorien 1 bis 5 zu erfolgen. Dabei ist der Zusatznutzen anhand des bis dorthin vorliegenden „Standard of Care“, das heißt im Vergleich zum Szenario ohne Einsatz der zu bewertenden Arzneispezialität, zu bewerten.

Medizinisch-therapeutische Zusatznutzenbewertung

§ 2 (1) Die Bewertung des medizinisch-therapeutischen Zusatznutzens einer Arzneispezialität hat auf Basis evidenzbasierter Bewertungsgrundlagen zu erfolgen und eine Evaluierung der Qualität der zugrundeliegenden Evidenz nach gängiger wissenschaftlicher Klassifikation zu beinhalten:

1. Klasse Ia: Evidenz durch Meta-Analysen von mehreren randomisierten, kontrollierten Studien,
2. Klasse Ib: Evidenz aufgrund von mindestens einer randomisierten, kontrollierten Studie,
3. Klasse IIa: Evidenz aufgrund von mindestens einer gut angelegten, kontrollierten, jedoch nicht randomisierten Studie,
4. Klasse IIb: Evidenz aufgrund von mindestens einer gut angelegten quasi-experimentellen Studie,
5. Klasse III: Evidenz aufgrund gut angelegter, nicht-experimenteller deskriptiver Studien wie etwa Vergleichsstudien, Korrelationsstudien oder Fall-Kontroll-Studien,
6. Klasse IV: Evidenz aufgrund von Berichten/Meinungen von Experten-Boards, Konsensus Konferenzen oder Expertenmeinungen bzw. klinischer Erfahrung anerkannter Autoritäten.

(2) Der grundsätzliche Zusatznutzen einer Arzneispezialität besteht im patient:innenrelevanten therapeutischen Effekt insbesondere hinsichtlich der Verbesserung des Gesundheitszustands, der Verkürzung der Krankheitsdauer, der Verlängerung des Überlebens, der Verringerung von Nebenwirkungen oder einer Verbesserung der Lebensqualität. Die Bewertung gemäß § 1 Abs 1 und 2 hat dem folgend unter Bedachtnahme auf patient:innenrelevante Endpunkte unter Berücksichtigung einer gesamthaften und abschließenden Bewertung zu erfolgen:

1. Mortalität,
2. Morbidität,
3. Lebensqualität und
4. Komplikationen und Nebenwirkungen.

(3) Im Zuge der vergleichenden (Zusatz-)Nutzenbewertung mit zweckmäßigen Vergleichstherapien hat eine systematische Identifikation verfügbarer Therapieoptionen unter Berücksichtigung von Therapiestandards und wissenschaftlichen Leitlinien zu erfolgen. Die diesbezüglichen Auswahlkriterien und Anforderungen an Studienqualität und -validität sind zu dokumentieren sowie eine Begründung im Falle von fehlenden Standards vorzusehen.

(4) Die Geschäftsstelle hat den Mitgliedern des Bewertungsboards HTA-Berichte bis spätestens 14 Tage vor dem jeweiligen Sitzungstermin zur schriftlichen Stellungnahme zur Verfügung zu stellen. Eingelangte Stellungnahmen von Mitgliedern sind ebenso wie akkordierte Ergebnisse aus den Beratungen des Bewertungsboards, sofern dies von den Mitgliedern gewünscht wird, als fester Bestandteil von der Geschäftsstelle in kurzer und kompakter Form in den jeweiligen Begründungen zu den Empfehlungen mit aufzunehmen.

Wirtschaftlichkeitskriterien gemäß § 11 GO

§ 3 (1) Die Wirtschaftlichkeit der zu bewertenden Arzneispezialität gemäß § 62e Abs 4 Z 1 KAKuG ist in Hinblick auf die Angemessenheit der Kosten einer Behandlung in Relation zu den Nutzenkategorien gemäß § 1 Abs 1 und 2 – sofern vorhanden – gleichsam im Vergleich zu zweckmäßigen therapeutischen Alternativen zu beurteilen. Die vergleichende Prüfung der Angemessenheit der Kosten hat insbesondere unter Bedachtnahme auf

1. den Schweregrad und Seltenheit (bspw. „Orphan Drug“) der Erkrankung,
2. die Verfügbarkeit therapeutischer Alternativen,
3. die Innovation des Wirkprinzips (der Anwendung) sowie
4. die Größe der Zielpopulation

zu erfolgen. Die abschließende Beurteilung der Wirtschaftlichkeit ist eine Ermessensentscheidung des Bewertungsboards in Zusammenschau der medizinisch-therapeutischen Bewertung, der Anwendungskriterien und der angebotenen vertraglichen und finanziellen Konditionen. Zusätzlich können weitere insbesondere ethische oder gesellschaftlich relevante Aspekte in die Abwägung einbezogen werden, wie die Schwere der Erkrankung, die Seltenheit der Erkrankung und die Verfügbarkeit sowie das Preisniveau von therapeutischen Alternativen.

(2) Von einer Wirtschaftlichkeit einer zu bewertenden Arzneispezialität ist jedenfalls auszugehen, wenn

1. bei einer Zuordnung zur Nutzenkategorie 1 (wesentlicher medizinisch-therapeutischer Zusatznutzen, § 1 Abs 1 Z 1) die Kosten der zu bewertenden Arzneispezialität **in einem angemessenen Verhältnis**, wenn möglich auf Basis einer gesundheitsökonomischen Studie, **vertretbar über den Kosten der therapeutischen Alternativen** liegen;
2. bei einer Zuordnung zur Nutzenkategorie 2 (medizinisch-therapeutischer Zusatznutzen, § 1 Abs 1 Z 2) die Kosten der zu bewertenden Arzneispezialität **in einem angemessenen Verhältnis über den Kosten der therapeutischen Alternativen** liegen;
3. bei einer Zuordnung zur Nutzenkategorie 3 (moderater medizinisch-therapeutischer Zusatznutzen, § 1 Abs 1 Z 3) die Kosten der zu bewertenden Arzneispezialität **annähernd gleich hoch wie die Kosten der therapeutischen Alternativen** sind;
4. bei einer Zuordnung zur Nutzenkategorie 4 (gleicher oder ähnlicher medizinisch-therapeutischer Nutzen, § 1 Abs 1 Z 4) die Kosten der zu bewertenden Arzneispezialität **unter den Kosten der therapeutischen Alternativen** liegen;
5. bei einer Zuordnung zur Nutzenkategorie 5 (geringerer medizinisch-therapeutischer Nutzen, § 1 Abs 1 Z 5) die Kosten der zu bewertenden Arzneispezialität **deutlich unter jenen der therapeutischen Alternativen** liegen.

(3) Bei hohen Unsicherheiten hinsichtlich der Quantifizierung des medizinisch-therapeutischen (Zusatz-)Nutzens, wie insbesondere nach § 1 Abs 1 Z 6 und Abs 2, kann auch die Wirtschaftlichkeit nicht abschließend beurteilt werden. In diesen Fällen sind im Falle einer

Empfehlung der Anwendung der Arzneyspezialität durch das Bewertungsboard Begleitmaßnahmen, insbesondere eine anwendungsbegleitende Datenerhebung und eine zeitnahe Re-Evaluierung zu erwägen.

Kostenbewertung

§ 4 (1) Im Zuge der Angemessenheitsprüfung der vergleichsrelevanten Kosten einer zu bewertenden Arzneyspezialität sind jedenfalls folgende Kostenarten einer Bewertung zu unterziehen:

1. Direkte Arzneyspezialitätenkosten,
2. Applikationskosten, wie ärztliche Behandlung und Diagnostik,
3. Kosten begleitender Therapiemaßnahmen wie der erforderlichen Begleitmedikation,
4. Therapie-Monitoring,
5. Behandlung von Nebenwirkungen.

(2) Bei der Beurteilung der Wirtschaftlichkeit soll eine Ausgaben-Einfluss-Analyse (Budget-Impact-Analyse) in Hinblick auf die nachhaltige Finanzierbarkeit, über einen Zeitraum von zumindest drei Jahren, des öffentlichen Gesundheitssystems berücksichtigt werden, insbesondere unter Bedachtnahme auf die direkten Behandlungskosten (Abs 1) der zu bewertenden Arzneyspezialität sowie, sofern verfügbar, die den Zielsteuerungs-Partnern erwachsenden indirekten Kosten. Dabei sollen sowohl die Gesamtausgaben je Szenario als auch die inkrementellen Ausgaben pro Jahr ermittelt werden. Ebenso ist eine vergleichende Analyse des internationalen Preisgefüges (Referenzpreise) vorzunehmen.

(3) Zur Beurteilung der Wirtschaftlichkeit sind erforderlichenfalls und so zweckmäßig, gesundheitsökonomische Studien, wie insbesondere Kosten-Nutzwert- und Kosten-Effektivitäts-Analysen heranzuziehen, die nach international anerkannten wissenschaftlichen Standards zu erstellen und inklusive Programmcode und Berechnungsmodell vorzulegen sind.

Dokumentation

§ 5 Die Kategorisierung und Bewertung gemäß §§ 1 bis 4 ist nachvollziehbar und vollständig von der Geschäftsstelle zu dokumentieren. Dies umfasst insbesondere

1. die Ergebnisdokumentation samt transparenter Begründung der Schlussfolgerungen und Dokumentation der Kategorisierung und Wirtschaftlichkeitsbeurteilung,
2. die Prozessdokumentation samt nachvollziehbarer Darstellung der Bewertungsschritte,
3. die Darstellung der konkret angewandten Bewertungsmethodik,
4. die Dokumentation der Evidenzbasis sowie
5. eine zusammenfassende Darstellung der Bewertungsergebnisse.

Die transparente Begründung der Schlussfolgerungen hat insbesondere eine Begründung der Nutzenbewertung und -kategoriezuordnung, der Wirtschaftlichkeitsbeurteilung sowie eine Erläuterung der Abwägungsprozesse bei der Gesamtbewertung zu beinhalten.

Inkrafttreten

§ 6 Diese Ausführungsbestimmungen treten nach Beschluss durch die Bundes-Zielsteuerungskommission mit 1. Jänner 2025 in Kraft. Sie sind nach Bestätigung durch das Bewertungsboard auf der Website des für das Gesundheitswesen zuständigen Bundesministeriums zu veröffentlichen.