



**Pharmaday Frühling 2013**

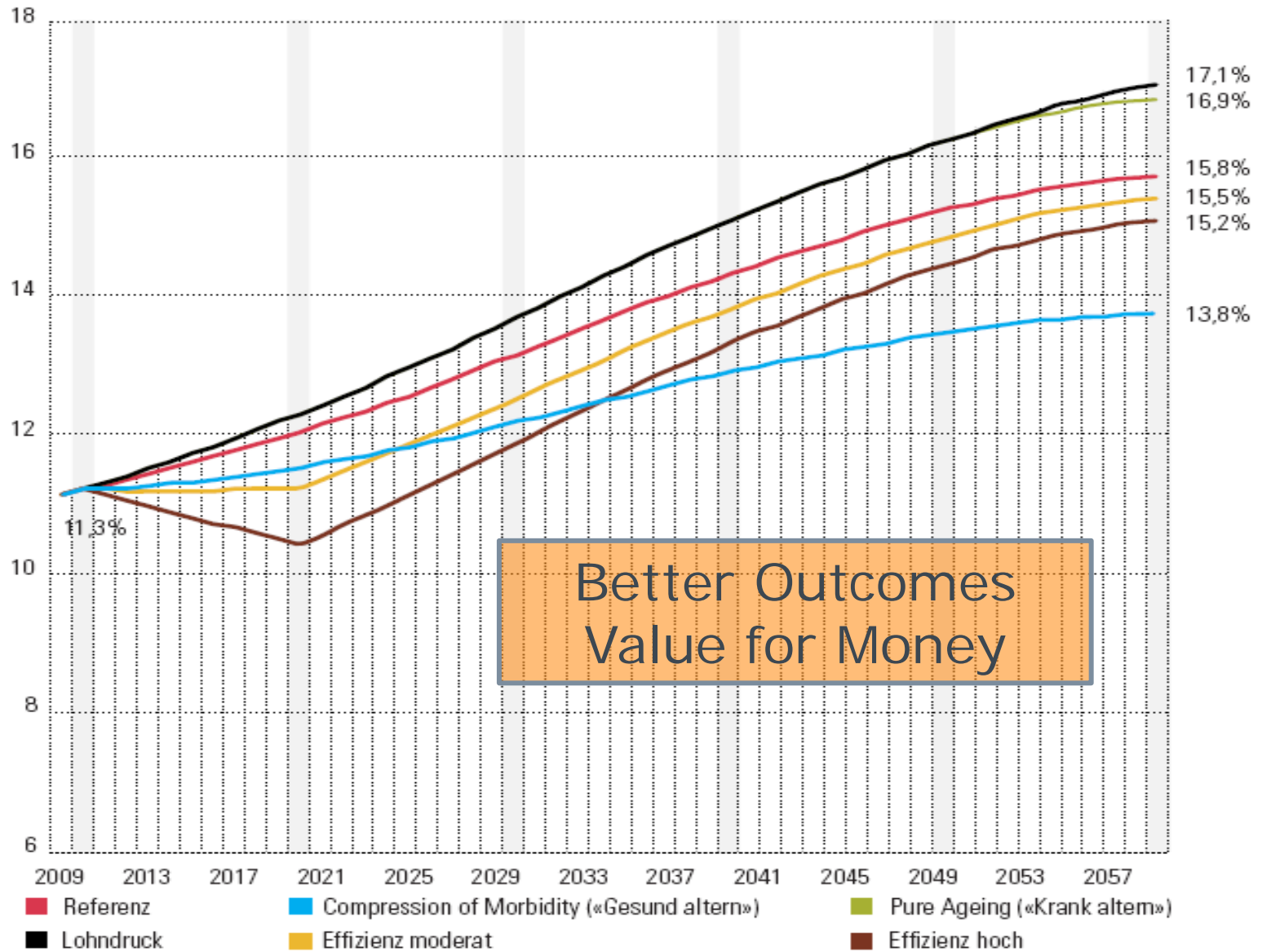
29. Mai 2013

**SwissHTA – Wo stehen wir? Wo geht die Reise hin?  
Standpunkte zu SwissHTA aus Sicht Interpharma**

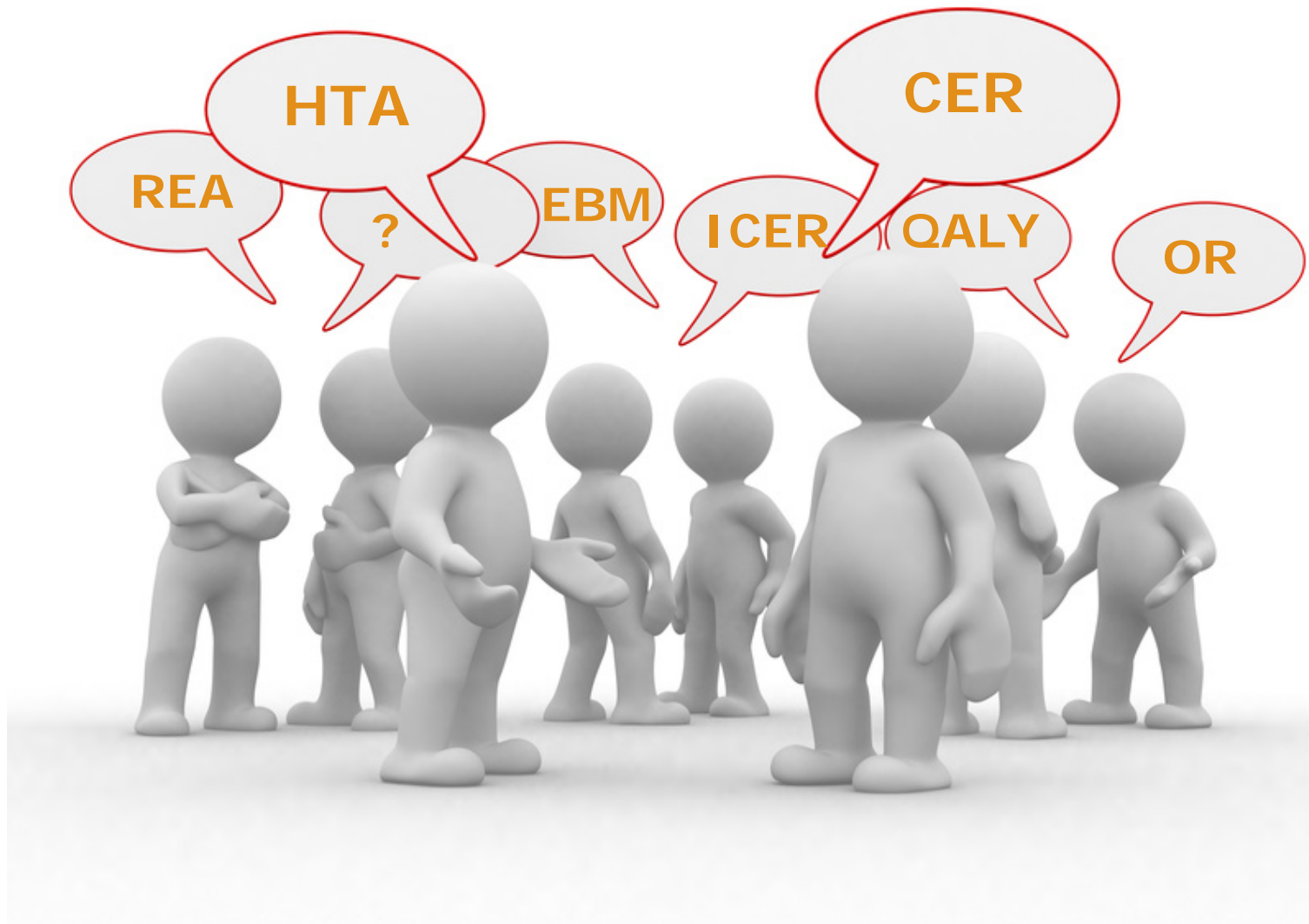
Dr. Heiner Sandmeier, MPH  
Stv. Generalsekretär Interpharma

# Entwicklung der Gesundheitsausgaben 2009–2060

In Prozent des BIP



# Wovon sprechen wir?



# HTA - Health Technology Assessment

- Origin of Technology Assessment in 1965 (US Congressman Daddario); first HTA by Office of Technology Assessment in 1974;
- *"HTA is a multidisciplinary process that summarises information about the medical, social, economic and ethical issues related to the use of a health technology in a systematic, transparent, unbiased, robust manner. Its aim is to inform the formulation of safe, effective, health policies that are patient focused and seek to achieve best value."*  
<http://www.eunetha.net/HTA/>
- *"Healthcare technology is defined as prevention and rehabilitation, vaccines, pharmaceuticals and devices, medical and surgical procedures, and the systems within which health is protected and maintained."*  
*"Technology assessment in health care is a multidisciplinary field of policy analysis. It studies the medical, social, ethical, and economic implications of development, diffusion, and use of health technology."*  
<http://www.inahta.net/>
- Main purpose is to support decision making for technology in health care;
- Technology is broadly defined;
- Conducted by interdisciplinary groups and uses explicit analytical frameworks and a variety of methods.

# Related Concepts

## OR - Outcomes research

- Patient Outcomes Assessment Research Program initiated by US National Centre in HIV Social Research in 1986
- Outcomes research evaluates the impact of health care on the health outcomes of patients and populations... [It] emphasizes health problem- (or disease-) oriented evaluations of care delivered in general, real-world settings; multidisciplinary teams; and a wide range of outcomes, including mortality, morbidity, functional status, mental well-being, and other aspects of health-related quality of life. It may entail any in a range of primary data collection methods and synthesis methods that combine data from primary studies.

Source: Goodman C. HTA 101. Introduction to Health Technology Assessment. 2004.

## Related Concepts - 2

### ER - Effectiveness research

- Effectiveness Initiative of US Health Care Financing Administration in 1988
- The evaluation of actual clinical practice under ordinary circumstances by average practitioners for typical patients.

Source: Lohr KN. Outcome measurement: concepts and questions. Inquiry 1988; 25: 37-50.

### CER - Comparative effectiveness research

- Medicare Prescription Drug, Improvement, and Modernization Act of 2003
- A type of health care research that compares the results of one approach for managing a disease to the results of other approaches. Comparative effectiveness usually compares two or more types of treatment, such as different drugs, for the same disease. Comparative effectiveness also can compare types of surgery or other kinds of medical procedures and tests. The results are often summarized in a systematic review.

## Related Concepts - 3

### EBM - Evidence-based medicine

- Term introduced approx. 1990
- Evidence-based medicine is the conscientious, explicit and judicious use of current best evidence in making decisions about the care of individual patients. The practice of evidence-based medicine means integrating individual clinical expertise with the best available external clinical evidence from systematic research.

Source: Sackett DL, Rosenberg WM, Gray JA, Haynes RB, Richardson WS. Evidence based medicine: what it is and what it isn't. BMJ 1996;312:71–2.

### PE - Pharmacoeconomics

- Term introduced approx. 1989
- A discipline of health economics that uses various techniques to assess the value of pharmaceutical interventions and health strategies.

# Dimensions of HTA

## Health economics

- is (or should be) about 2 dimensions: cost and health

## HTA

- includes more dimension
  - Technical properties
  - Safety, efficacy and effectiveness
  - Cost and other economic attributes
  - Organizational issues
  - Focus on best practice
  - Social, legal, ethical, or political impacts
- should provide incentives to encourage cost-effective health care, and disincentives to discourage non cost-effective care;
- should identify need for more studies and should facilitate incorporating results in clinical practice guidelines;



# Decision Support: Central Questions for Health Care Decision Makers

## **Does it work?**

- As a holistic assessment of the benefit/risk ratio of a technology;
- Both at launch and through time.
  - Does it work in a controlled environment, i.e. clinical trial (Efficacy)
  - Does it work in those patients where it is meant to work in and on relevant parameters compared with current care? (Effectiveness)

## **Does it add value to society?**

- As the ability of addressing unmet medical needs and
- improve healthcare system efficiency.

## **Is it worth doing it**

- Cost/investment needed measured against the available resources (Affordability)
- Is it at a reasonable cost to the public? (Cost-effectiveness)

## **Is it the best way of delivering the service?**

- When referred to the local features of healthcare systems.

# Key HTA Principles

## STRUCTURE OF HTA

1. Goal and scope explicit & relevant
2. Unbiased & transparent
3. All relevant technologies
4. Clear priority setting for topics

## METHODS OF HTA

5. Approp. cost & benefit methods
6. Wide range evidence & outcomes
7. Full societal perspective
8. Explicitly characterize uncertainty
9. Generalizability & Transferability

## PROCESSES FOR CONDUCT

10. Engage all stakeholders
11. Seek all available data
12. Monitor implementation of findings

## USE IN DECISION MAKING

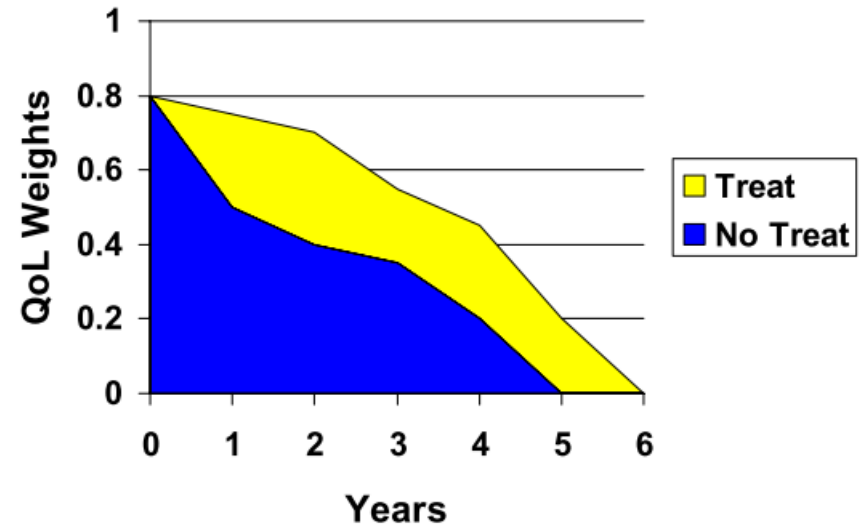
13. Should be timely
14. Appropriate communication
15. Clear link HTA–decision making

*Drummond et al. Int J Technol Assessment Health Care 2008*

# ICER - Incremental Cost-Effectiveness Ratio

## QALY - Quality Adjusted Life Year

$$\text{ICER} = \frac{\text{€Cost}_{\text{Int}} - \text{€Cost}_{\text{Comp}}}{\text{Utile}_{\text{Int}} - \text{Utile}_{\text{Comp}}}$$



### Utile

- units of utility or preference
- usually measured in QALYs

### ICER

- E.g. €50,000 per QALY

### QALY

- Tries to capture changes in length of life (mortality) and health related quality of life (e.g. utility for state of health)
- Length of Life X Quality Weight

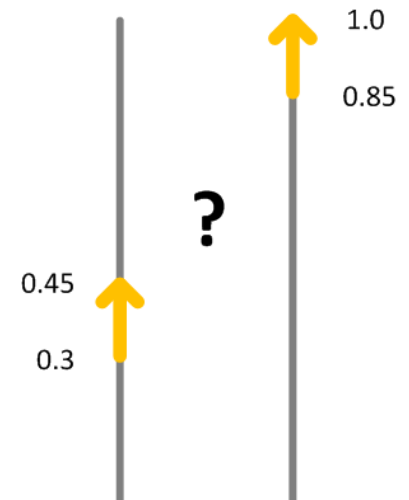
# Rationing by fixing thresholds to ICERs

## Setting threshold for ICERs

- Attempt to allocate a fixed budget according to a single quantitative criteria;
- implicit threshold of 30'000 £ / QALY in UK NHS; recently given up for end of life-situation and anticancer medicines;
- Swiss Federal Council rejected fixed cost threshold and rationing (after Myozyme ruling by Federal Court of Justice)

## Some of the problems with decisions based on ICER/QALY thresholds

- Weights given by healthy people;  
Weight varies between individuals and in an ill individual with time;
  - QALY and ICER change with evolving technology;
  - Assumes that all differences in QALY values be treated the same regardless of the severity of the disease.
- Disabled and very sick are disadvantaged



## How to deal with ICERs?

- *"ICERs and ICER threshold values are insufficient for assessing interventions' value for money. Rather, they should be considered as one element in the decision-making process. Complete rationalization of the decision-making process by means of quantitative decision criteria is undesirable and not feasible. Increasing transparency in the criteria used for a decision and explicitness about the relative importance of each criterion should, therefore, be the major goal."*  
Cleemput et al. Int J Tech Ass Health Care 27, 71 (2011)

### **ICER = "Information Created to Evade Reality"**

- *"The economic and equity rationale for carrying out budget impact analyses is opportunity cost, or benefits forgone, measured in terms of utility or equitable distribution, by using resources in one way rather than another"*  
Birch and Gafni (2006); Cohen et al (2008)

# What else? Multi Criteria Decision Analysis (MCDA) and Making

## To be incorporated in decision making AND analysis

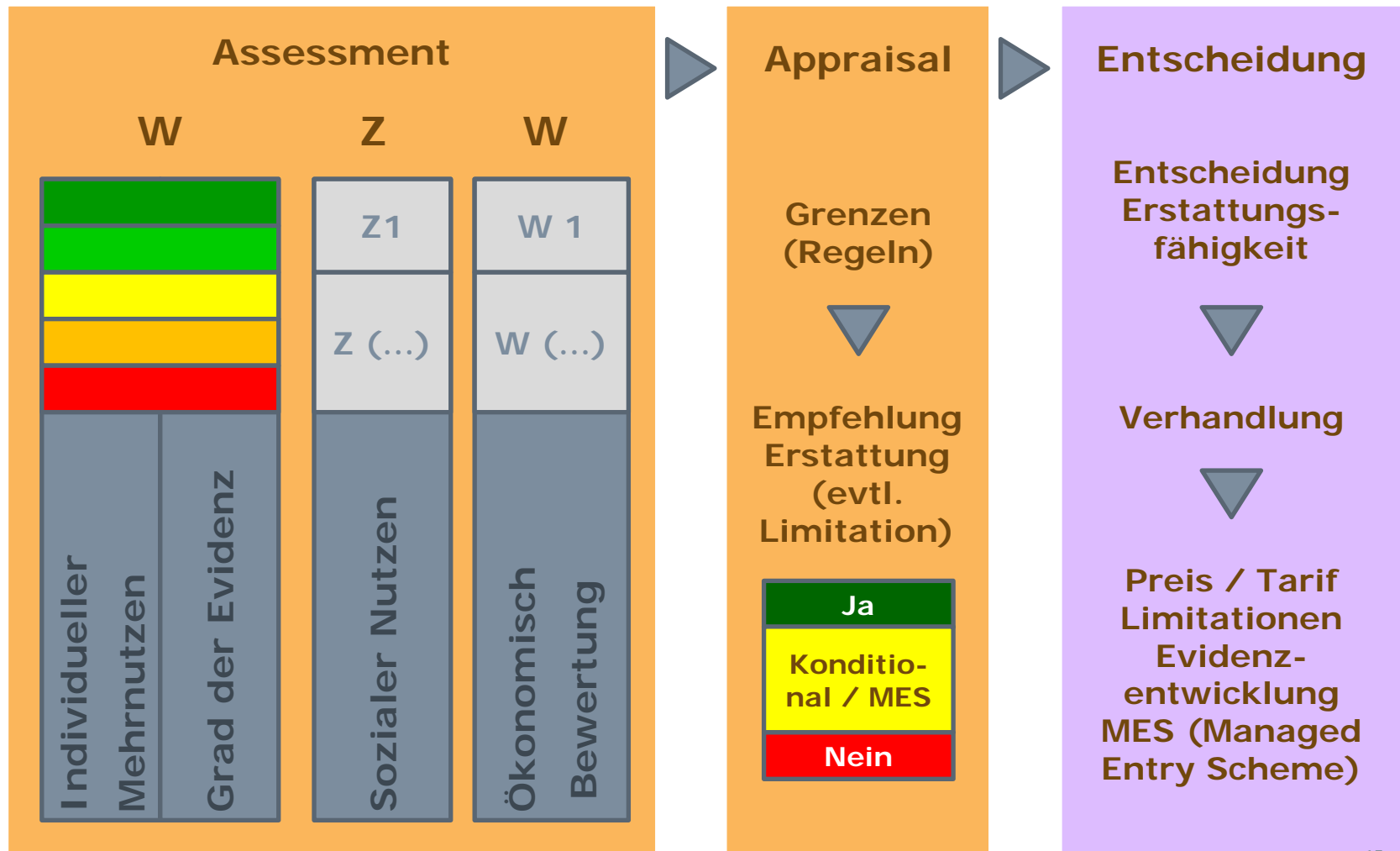
- Clinical value from an individual patient perspective
- Quality of life of the patient
- Value to caregivers
- Societal values
- preferences of the population
- Peoples rights, Fairness
- Cost impact, cost-efficiency, affordability

## Not all elements can be quantified!

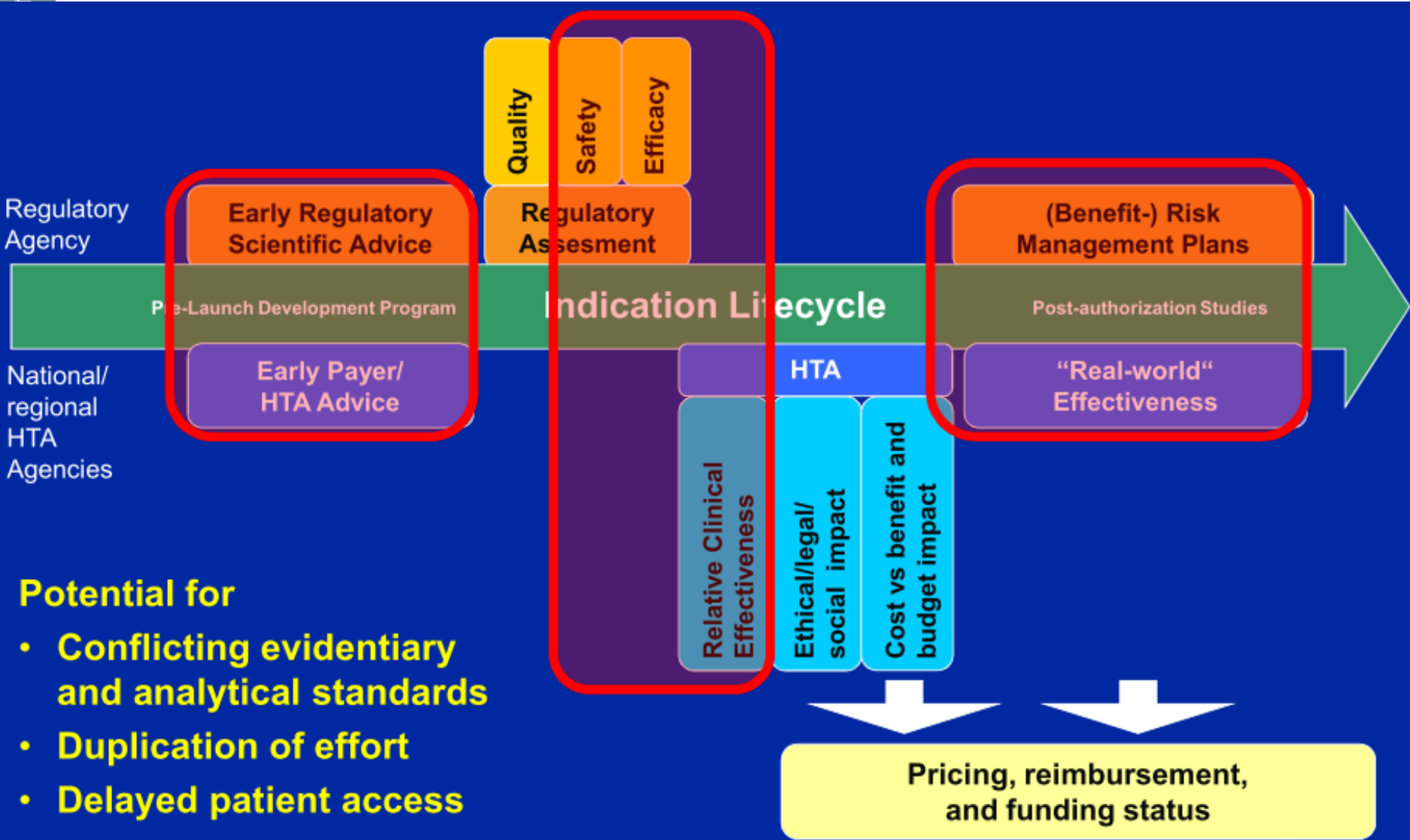
*„Everything that can be counted does not necessarily count; everything that counts cannot necessarily be counted.“*

**Albert Einstein**

# Rahmen für Prüfung der WZW-Kriterien



# Herausforderung für die Pharmaindustrie in Europa



## Potential for

- **Conflicting evidentiary and analytical standards**
- **Duplication of effort**
- **Delayed patient access**

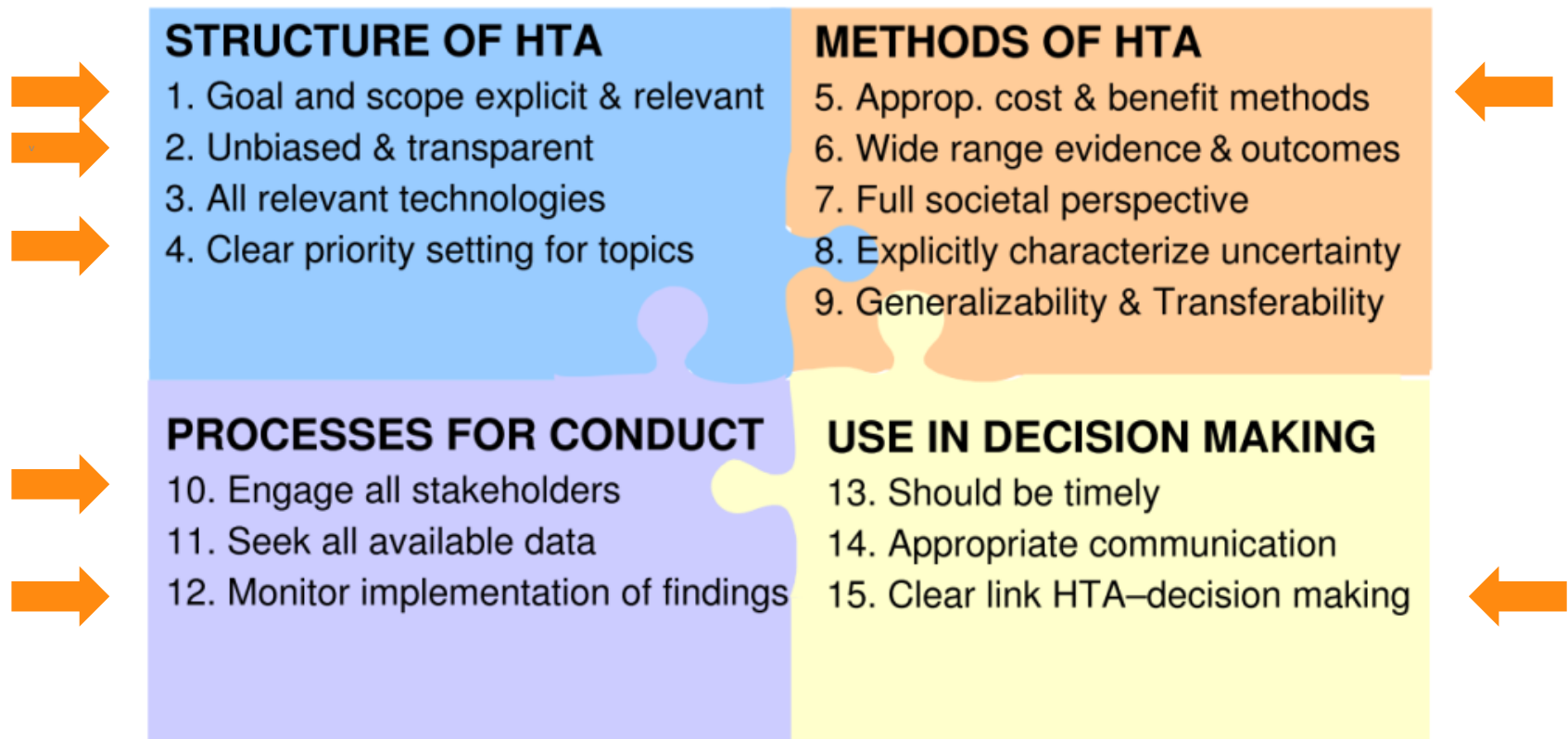


## Wo wir stehen (in der Schweiz)

- HTA und HTA-ähnliche Evaluationsverfahren im BAG unter Einbezug von eidg. Kommissionen für
    - Medizinische Leistungen und Grundsätzliches (ELGK)
    - Medikamente (EAK)
    - Analysen, Mittel und Gegenstände (EAMGK)
  - SNHTA
  - Swiss Medical Board
    - 10 abgeschlossene und 2 laufende Projekte (Chirurgie, Diagnostik, Screening, Medikamente)
  - SwissHTA-Projekt
    - Konsensus-Papier November 2011
    - Sechs Umsetzungspapier 2012
- HTA ist in der Schweiz wenig entwickelt und fragmentiert

# Wo wir stehen (in der Schweiz)

## Key HTA Principles



*Drummond et al. Int J Technol Assessment Health Care 2008*

# KVG: heterogene Umsetzung der WZW-Kriterien

## Grundlagen im KVG für alle Leistungen gleich ...

- Nachweis und regelmässige Überprüfung der WZW-Kriterien

... **aber**

- Konkretisierung der WZW-Kriterien sehr unterschiedlich;
- Systematische Prüfung und regelmässige Überprüfung nur bei Medikamenten;
- Grosse Anzahl nie geprüfter bestehender Leistungen mit höchst unterschiedlicher Qualität und Kosteneffizienz.

## Zulassungen heute sehr heterogen

- Medikamente: Nach Marktzulassung durch Swissmedic, Antragsystem und Positivliste (EAK, Spezialitätenliste)
- Analysen, Mittel und Gegenstände: Antragsystem und Positivliste (EAMGK, Analysenliste, MiGel)
- Medizinische Leistungen: Vertrauensprinzip und Negativliste, bundesseitige Abklärungen möglich aber nur die Ausnahme (ELGK)
- Medizinprodukte: keine Marktzulassung, EC-label, Vertrauensprinzip (ELGK)

# WZW-Kriterien in der Praxis: Verbesserungspotentiale

- Konsequente Trennung von Assessment, Appraisal und Entscheid;
- Transparenz von Prozess, Kriterien, Empfehlungen, Entscheiden;
- Geschwindigkeit des Evaluations-Prozesses;
- Umgang mit Unsicherheit;
- Innovative „Managed Entry“-Strategien  
z.B. Coverage with Evidence Development, Risk Sharing-Modelle etc.;
- Identifikation von Evidenzlücken und Massnahmen zu ihrer Schliessung;
- Umsetzung von Evaluationsergebnissen in Anwendungsleitlinien und Qualitätssicherung;
- Umsetzung getroffener Entscheide & Follow-Up.

# SwissHTA-Konsens: Kernelemente

## HTA unterstützt Entscheide des Bundes

- Verständnis von HTA als „decision support“ für Erstattungsentscheide (Ja, konditional, Nein) und Preis-/Tarifentscheide.
- Die Preisfestsetzung ist grundsätzlich nicht Teil des HTA-Prozesses. Aus der Bewertung können keine Preise berechnet werden!

## Konsequente Operationalisierung der WZW-Kriterien

- schrittweise und fundierte Bewertung der Wirksamkeit, der Zweckmässigkeit und der Wirtschaftlichkeit

## Rapid- (r-) HTA-Prozess

- primär für neue Technologien in allen Leistungsbereichen; neue Technologien in Positivlisten sind automatisch Gegenstand von rHTA

## Complete- (c-) HTA-Prozess

- primär für Bestandstechnologien in allen Leistungsbereichen; Vor allem Leistungen ausserhalb des Systems der Positivlisten, die i.d.R. noch nicht auf WZW-Anforderungen geprüft wurden

## SwissHTA-Konsens: Kernelemente - 2

### **Wirksamkeit: Raster zur Bewertung des Mehrnutzens gegenüber dem Vergleichstherapie mit pragmatischer Beurteilung der Evidenz**

- Mehrnutzen gegenüber „Standard of Care“ unter Berücksichtigung, der Signifikanz, der Relevanz und der Grösse des therapeutischen Effektes;
- Vertrauen in den Nachweis: pragmatische Beurteilung des Evidenzgrades im Kontext;
- transparente Nutzenkategorien.

### **Erweiterung des Zweckmässigkeits-Kriterium**

- Sozialer Nutzen; Präferenzen der Bevölkerung.

### **Wirtschaftlichkeit**

- Schaffung von Transparenz über die kurz-, mittel-, und langfristigen Folgen auf die Kostenträger;
- methoden-offene Bewertung der Effizienz.

### **Grenzsetzungen**

- Auf der Basis der transparenten Bewertung der WZW-Kriterien;
- Grenzen bez. Erstattungsfähigkeit, Erstattungsbedingungen, Mehrkosten, Effizienz.

## SwissHTA-Konsens: Kernelemente - 3

### **Konditionale Erstattungsmodelle und Managed Entry Schemes bei unklarer Evidenzlage**

- Zeitlich begrenzte Erstattung mit verbindlichen Vereinbarungen;
- Erstattungsmodelle, die raschen Zugang zu Innovation ermöglichen;
- Führen stärkere Verbindlichkeit in das System ein.

### **Transparenz**

- Evaluationskriterien und –methoden; HTA-Prozess-bezogene Standards;
- Schlüsseldokumente mit Entscheiden und tragenden Gründe für Entscheide.

### **Einbezug der Stakeholder**

- Vorschlag und Auswahl von Technologien für Assessments (ausserhalb Antragsverfahren);
- Early Consultation im Vorfeld von HTAs;
- Einsitz in Appraisal Committees;
- Kommentierung des Dossier Assessment Report, Appraisal Recommendation.

# Vorschlag für neue Systematik der WZW-Kriterien

## Wirksamkeit

- Individuelle Nutzenperspektive: benefit, utility, klinisch-therapeutischer Nutzen und Lebensqualität;
- Vergleichende Wirksamkeit und Verträglichkeit, d.h. Mehrnutzen: relative efficacy, relative effectiveness;
- Pragmatische Beurteilung der Evidenz im Kontext;
- Transparente Kategorien für den Mehrnutzen.

## Zweckmässigkeit

- Soziale Nutzenperspektive: soziale Präferenzen;
- explizite Berücksichtigung normativer und empirischer Ethik.

## Wirtschaftlichkeit

1. Kostenfolgen;
2. technische und produktive Effizienz:  
explizit Verzicht auf fixe patientengruppen- bzw. indikations-übergreifende Schwellenwerte für Kosteneffektivität.



## Zweckmässigkeit - erweitert

- Die Zweckmässigkeit einer Massnahme bestimmt sich aus dem Mass ihrer Übereinstimmung mit den Zielen der solidarischen Gesundheitsversorgung im Rahmen der obligatorischen Krankenpflegeversicherung (OKP).
- Diese Ziele sollen neben normativen Vorgaben die empirisch belegbaren Erwartungen (die sog. „sozialen Präferenzen“) der obligatorisch Krankversicherten reflektieren.
- Neben einer hinreichend belegten klinischen Wirksamkeit und einem (Mehr-)Nutzen im Sinne des Kriteriums der Wirksamkeit schliessen diese Ziele insbesondere die genannten sozialen Präferenzen ein.

# Zweckmässigkeit – soziale Präferenzen

## Kriterien der Dringlichkeit und des Schweregrads

- Vorrang für Interventionen bei besonders akuten und / oder besonders schweren Gesundheitsstörungen.

## Kriterium der sogenannten “Fair Innings”

- Besondere Berücksichtigung von Interventionen für junge Menschen, die noch keine Chance hatten, ihre individuellen Lebenspläne in Autonomie zu verwirklichen (Gesundheit als “konditionales Gut”).

## Kriterium der Fairness

- Faire Chance auf Zugang zu wirksamer medizinischer Versorgung auch bei Seltenheit einer Gesundheitsstörung und / oder hohen Kosten einer Intervention.

## Kriterium der “Bagatellen”

- Nachrangigkeit von Interventionen für nur geringfügige Gesundheitsstörungen und / oder Zumutbarkeit der Eigenfinanzierung;
- Möglichst unbehinderter Zugang zu „echten“ Innovationen.

# Wirtschaftlichkeit: Kostenfolgen und Effizienz

## 1. Kostenfolgenanalysen

- Schaffung von Transparenz über die kurz-, mittel- und langfristigen Folgen eines Entscheids auf Kostenträger.

## 2. Effizienzanalysen bei Überschreiten von kritischen Budgetbelastungen für die OKP

- Methodenpluralismus, die konkrete Fragestellung diktiert die geeignete Methode
  - Kosten-Minimierungs-Analysen (Cost Minimization Analysis)
  - Kosten-Effektivitäts-Analysen (Cost Effectiveness Analysis)
  - Kosten-Nutzwert-Analysen (Cost Utility Analysis)
  - Kosten-Nutzen-Analysen (Cost Benefit Analysis)
  - Kosten-Wert-Analysen (Cost Value Analysis)
- Die geeignete Perspektive einer Evaluation ist abhängig von der jeweiligen Fragestellung.

# Grenzsetzungen - Evidenzbasiert

## Wirksamkeitskriterien

- Belegbarer Mehrnutzen;
- Relevanz und Grösse von Effekten;
- Niveau und Qualität der Evidenz.

## Zweckmässigkeitskriterien

- Ausschluss von "Bagatellen" aus dem Leistungskatalog der OKP.

## Wirtschaftlichkeitskriterien

- Einfluss der gesamten Kostenfolgen (Programmgrösse) auf zweckmässige Erstattungs- und Preisentscheide;
- Ausschluss (oder adäquate Kostensenkung) technisch und produktiv ineffizienter Technologien.

# Wo geht die Reise hin?

## SwissHTA-Projekt

- Projektsteuergruppe: santésuisse/Helsana, Interpharma/Roche, FMH, SAMW, als Beobachter GDK, BAG
- Ziel: Konvergenz der bestehenden Ansätze auf Bundesebene
- Projekte in Diskussion/Planung
  - Workshop Herbst 2013
  - Studie sozialer Nutzen; Pilotstudien; Wissenschaftliche Publikation im Springer Verlag

## Bund

- Bundesgesetz für Qualität und Patientensicherheit nicht vor Q1 2014 in Vernehmlassung: institutionelle Einbettung von HTA beim Bund
- Medikamente / Spezialitätenliste
  - Anpassung WZW-Arbeitspapier?
  - Änderung KLV per 1.6.2013: Beschleunigung des Prozesses, mehr personelle Ressourcen ab 2014, EAK-Sitzungen 6x pro Jahr, Prozessmonitoring
  - Diskussion Preisfestsetzungssystem ab 2015: Nutzenbewertung/TQV

# Swiss Medical Board

## Abgeschlossene Fachberichte

- Übertragbarkeit eines HTA-Berichts des IQWiG auf die Schweiz – Eine Untersuchung am Beispiel von Ezetimib bei Hypercholesterinämie - 2013
- Computertomographie-Scanner in der Abklärung der koronaren Herzerkrankung - 2013
- Chirurgische Therapie von Lebermetastasen beim kolorektalen Karzinom - 2012
- Vertebroplastie und Kyphoplastie bei osteoporotischen Wirbelkörperfrakturen - 2011
- Stellenwert des PSA-Wertes bei der Früherkennung des Prostatakarzinoms - 2011
- Kombinierte Positronenemissions- und Computertomographie (PET/CT) bei Diagnostik und Staging der Lungentumoren - 2011
- Antibiotikaprophylaxe bei der elektiven Chirurgie der Inguinalhernien - 2011
- Perkutane, Katheter-basierte Behandlung der schweren Mitralklappeninsuffizienz (Percutaneous Mitral Valve Repair) - 2010
- Ruptur des vorderen Kreuzbandes: operative oder konservative Behandlung? - 2009
- Einsatz von Bevacizumab bei der Behandlung von metastasiertem Dickdarmkrebs - 2009

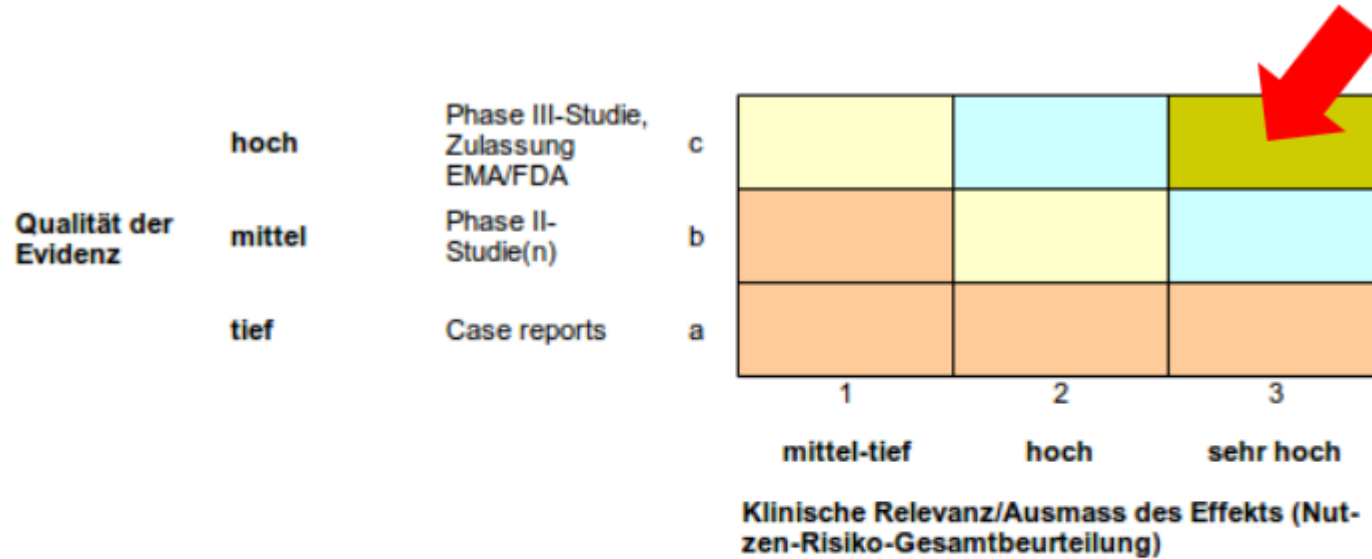
## In Bearbeitung





- Systematisches Mammographie-Screening
- Therapie mit Statinen zur primären Prävention von kardiovaskulären Krankheiten

# HTA-ähnliche Schemata für KVV 71a/b

							score			
Datenqualität	Evidenzklasse	I	RCT, Metaanalysen	3						
		II	Vergleichsstudien ohne Randomisierung	2						
		III/IV	Korrelationsstudien, Case reports, Guideline, Expertenmeinungen	1			max. 3			
	p-Wert	OS	kleiner/gleich 0,01	3						
		PFS	kleiner/gleich 0,05	2						
		RR	kleiner/gleich 0,05	1			max. 5			
	Vertrauen/Publikation	Gross		2						
Mässig			1							
Gering			0			max. 2				
Wirkung	Wirkprinzip	Gezielt, targeted-Therapie		1						
		Ungezielt, non-targeted-Therapie		0			max. 1			
	OS	Ab 8 Wochen		1	<b>HR als Alternative</b>					
		Ab 12 Wochen		2		ab 0,85	0			
		Ab 16 Wochen		4		0,79-0,84	1			
	Ab 24 Wochen		5	0,78-0,70	2					
					bis 0,69	3	max. 5			
PFS	Ab 8 Wochen		1	<b>HR als Alternative</b>						
	Ab 16 Wochen		2		ab 0,76	0				
	Ab 24 Wochen		3	0,58-0,75	1					
					0,57-0,43	2				
					bis 0,42	3	max. 3			
RR	0-10%	11-50%	SD oder P	0						
				1						
				2						
				3			max. 3			
	51-80%	über 80%	oder CR							
Lebensqualität	Adverse Events AE	Grad 5	Grad 4	über 1%	0	<b>Lebensqualität als Alternative</b>	0	<b>Deutliche Verbesserung</b>		
										1
		Grad 3	Grad 2	1% und weniger	über 10%	10% und weniger	0	Hohe Aufwendungen/AE	2	2
		Grad 1 und 0	Grad 1 und 0				3	Wenig Aufwendungen/AE	3	3
						<b>Geringe Verbesserung</b>				
						Wenig Aufwendungen/AE	1	1		
						Hohe Aufwendungen/AE	0	0		
<b>Total</b>									<b>max. 27</b>	

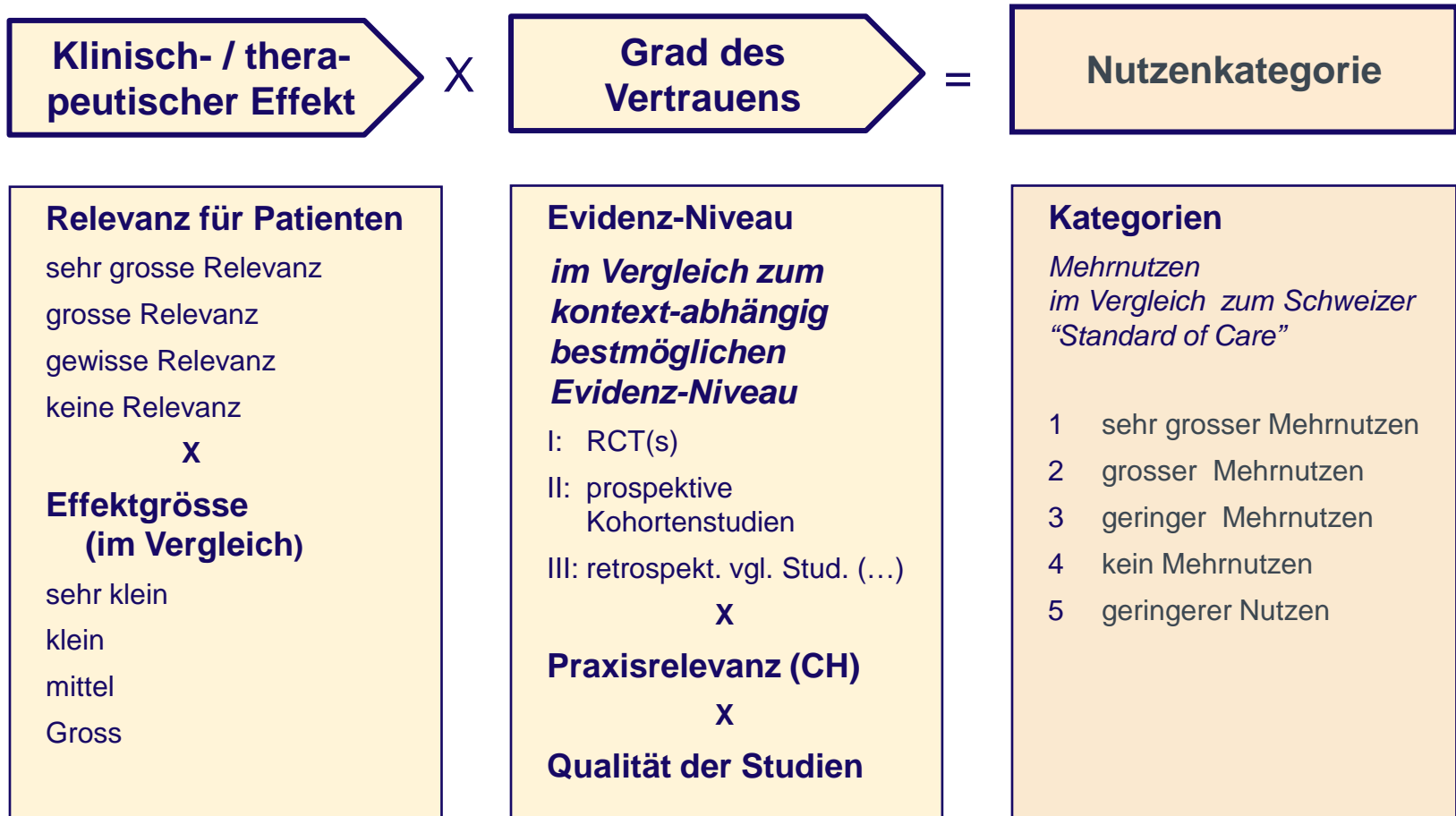
# HTA-ähnliche Schemata für KVV 71a/b



		<b>Nutzen</b>		
→		A	hoch	grosser Nutzen gemäss Art. 71 KVV
→		B	bedeutsam	
→		C	mit Potential	Therapieversuch
→		D	mässig-gering	keine Vergütung



# SwissHTA: Pragmatische Beurteilung der Evidenz im Kontext



# Pragmatische Beurteilung der Evidenz im Kontext des erwartbaren Evidenzniveau

## Nutzenkategorisierung (Evidenzniveaus und Konsequenzen)

### Evidenz-Niveaus

und abgeleitete Konsequenzen:

1. (Abstrakt) bestmögliches Evidenzniveau

**Evidenzlücke** (a. prinzipiell oder b. zeitabhängig unvermeidbar)? **b. =>**

1. *Managed Entry-Strategie* (evtl. *Risk Sharing*)

2. *Coverage with Evidence Development*

2. Bestmögliches im gegebenen Kontext erwartbares Evidenzniveau

**Evidenzlücke** (vermeidbar)?

1. *Downgrading* (integrierte Nutzenkategorisierung)

2. *Definition Forschungsbedarf*

3. Bestes verfügbares Evidenzniveau

*„Achieving high value for patients must become the overarching goal of health care delivery, with value defined as the health outcomes achieved per dollar spent.“*

Source: Porter ME, Teisberg EO. Redefining health care: creating value-based competition on results. Boston: Harvard Business School Press, 2006.