VITIS
Healthcare Group



13. MVF-Fachkongress
09.12.2024

Ein holistischer Bewertungsansatz zwischen Nutzen und Ökonomie

Melina Kurte, M.A.
Senior Managerin | VITIS Healthcare Group

VITIS GmbH
Am Morsdorfer Hof 12 I 50933 Köln
vitis-healthcare.com

Ein holistischer Bewertungsansatz



Melina Sophie Kurte MA
Anne Wenzel MS
Prof. Dr. rer. medic. Florian Kron

„Value-based CAR-T-Zelltherapie“ – ein holistischer Bewertungsansatz zwischen Nutzen und Ökonomie

Michael E. Porter beschreibt den Wert in einer wertorientierten Gesundheitsversorgung als „erreichtes Behandlungsergebnis je ausgegebenem Euro“ (Porter 2010). In diesem Ansatz wird der Patientennutzen anhand der medizinischen Ergebnisqualität in ein Verhältnis zu den aufgebrachten Ressourceneinsätzen gesetzt (Porter 2008, 2010). Das heißt, der Wert einer Behandlung wird nicht nur über das Behandlungsergebnis (wie z. B. das Gesamtüberleben der Patient:innen), sondern über den gesamten Behandlungsablauf von der Erstdiagnose bis hin zur Nachsorge und Rehabilitation („Patient Journey“) definiert (Tunder et al. 2020). Den einzelnen Behandlungsschritten sind die entstehenden Kosten zuzuordnen.

*„Die Anwendung des Prinzips der **wertorientierten Gesundheitsversorgung** auf die CAR-T-Zelltherapie bedeutet, dass…*

*…eine Saldierung von Behandlungsqualität und -kosten notwendig ist. Dabei **müssen Qualität und Kosten durch eine holistische Bewertung der Patientenpfade und Therapieoptionen**, einschließlich **besonderer Therapiesituationen** wie die CAR-T-Zelltherapie (…), bestimmt werden.“**

* Kurte, M. S., Wenzel, A., Kron, F.: „Value-based CAR-T-Zelltherapie“ – ein holistischer Bewertungsansatz zwischen Nutzen und Ökonomie. *Monitor Versorgungsforschung* (02/24), S. 47–52. http://doi.org/10.24945/MVF.02.24.1866-0533.2593

Value-based Healthcare (VBHC) - Definition

VBHC ist ein Rahmenkonzept zur Restrukturierung von Gesundheitssystemen

Unter **wertorientierter Gesundheitsversorgung** versteht man die Schaffung und den Betrieb eines Gesundheitssystems, das explizit die patientenrelevanten Gesundheitsergebnisse priorisiert und ins Verhältnis zu den für das Erreichen dieser Ergebnisse entstehenden Kosten setzt.*

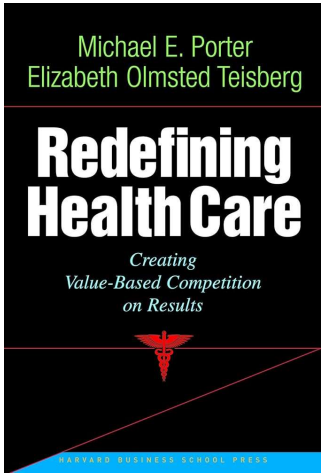
Maximierung des **Nutzens für die Patienten** zu möglichst geringen Kosten

Behandlungsqualität soll die **Patienten in den Mittelpunkt** stellen

Ganzheitliche Betrachtung und Bewertung des Nutzens

$$\text{Patientennutzen} = \frac{\text{Gesundheitsergebnis}}{\text{Kosten}}$$

VHBC = Rahmenkonzept, um Maßnahmen daran auszurichten;
(gemeint ist nicht: *eine konkrete* Maßnahme)



Porter und Teisberg (2006)

* https://impact.economist.com/perspectives/sites/default/files/EIU_Medtronic_Findings-and-Methodology_1.pdf;
Porter, M. E., & Teisberg, E. O. (2006). Redefining health care: Creating value-based competition on results. Harvard Business School Press.

8 Grundprinzipien von Value-based Healthcare (VBHC)

„At its core is maximizing value for patients: that is, achieving the best outcomes at the lowest cost“
(Porter und Lee 2013, S. 50)

8 Grundprinzipien der wertorientierten Gesundheitsversorgung

1. Hochwertige Versorgung sollte weniger kosten
2. Fokus auf den Wert für Patienten, nicht nur auf Kostensenkungen
3. Konzentration auf medizinische Zustände über den gesamten Behandlungspfad
4. Wert wird durch Erfahrung, Skalierung und Lernen der Anbieter beeinflusst
5. Verfügbarkeit von Ergebnisinformationen zur Unterstützung des wertorientierten Wettbewerbs
6. Wettbewerb basierend auf Ergebnissen
7. Regionaler und nationaler Wettbewerb
8. Belohnung von Innovationen, die den Wert steigern

Nach: Porter, M. E., & Teisberg, E. O. (2006). Redefining health care: Creating value-based competition on results. Harvard Business School Press

Faktoren der wertorientierten Gesundheitsversorgung

Welche Domänen sind für eine Etablierung von VBHC zu beachten?

1 Rahmenbedingungen, Politik und Institutionen, die eine wertorientierte Gesundheitsversorgung ermöglichen

Zum Beispiel:

- Vorhandensein und Unabhängigkeit einer HTA-Organisation
- Aus- und **Weiterbildung** der Gesundheitsberufe im Bereich VBHC
- **Evidenzbasierte Leitlinien** für die Gesundheitsversorgung

2 Messung von Ergebnissen und Kosten

Zum Beispiel:

- **Erhebung** von Daten über die **Behandlungskosten** der Patienten
- Zugänglichkeit von Daten zu Patientenergebnissen
- Nationale **Krankheitsregister**
- Standardisierung **von Daten zu Patientenergebnissen**
- interoperable **elektronische Patientenakten**

3 Integrierte und patientenzentrierte Versorgung

Zum Beispiel:

- Organisation der Gesundheitsversorgung in **integrierten und/oder patientenzentrierten Einheiten**
- Effizienzgewinne und Reduktion von Doppeluntersuchungen
- Fokus auf koordinierte, standardisierte **Versorgungspfade**

4 Ergebnisorientierter Zahlungsansatz

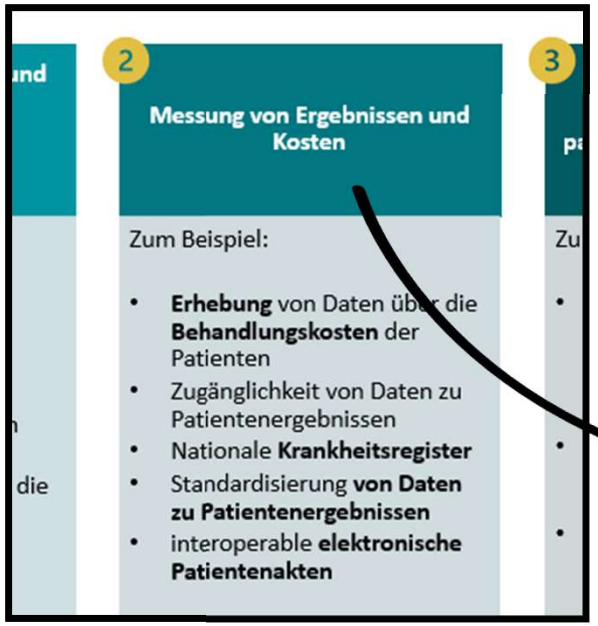
Zum Beispiel:

- **Gebündelte Zahlungen** (vs. „Fee-for-Service“)
- Mechanismen zur Ermittlung von nicht kosten-effektiven Maßnahmen (Desinvestition)

Nach: The Economist Intelligence Unit: https://impact.economist.com/perspectives/sites/default/files/EIU_Medtronic_Findings-and-Methodology_1.pdf

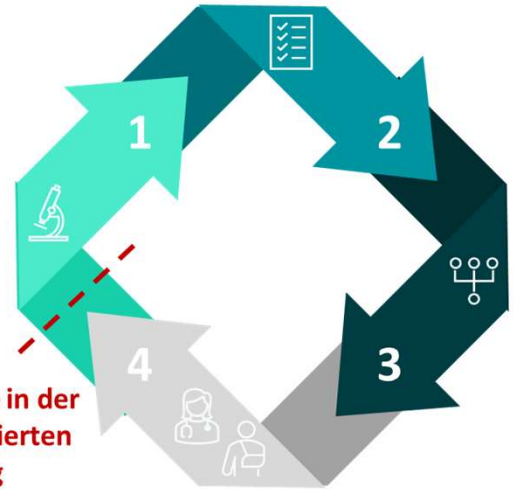
Bruchstelle in der wertorientierten Versorgung

Marktzugangsprozess einer neuen Gesundheitstechnologie



Forschung & Marktzulassung
Marktzulassung sollte auch patienten-berichtete Endpunkte in Betracht ziehen

Translation
Datenbasierte Überführung von Forschungsergebnissen aus Medizin und Gesundheits-wissenschaften



Nutzenbewertung
Fehlende holistische Bewertung der Angemessenheit und Zumutbarkeit der Kosten im Verhältnis zum Nutzen entlang der Patient Journey

Bruchstelle in der wertorientierten Versorgung

MARKTDIFFUSION
Regulatorische Hürden im ambulanten und stationären Sektor, die dazu führen, dass es keinen strukturieren Patientenpfad gibt

Nach: Kurte, M. S., Wenzel, A., Kron, F.: „Value-based CAR-T-Zelltherapie" – ein holistischer Bewertungsansatz zwischen Nutzen und Ökonomie. Monitor Versorgungsforschung (02/24), S. 47–52. http://doi.org/10.24945/MVF.02.24.1866-0533.2593

Forschung & Marktzulassung

Besondere Therapiesituation: Seltene Erkrankungen & Orphan drugs

Hürden für eine wertorientierte Versorgung:

- Kleine Studienpopulationen
- Fehlende Vergleichsinterventionen
- Problematik des Nachweises eines langfristigen klinischen (Zusatz-)Nutzens in „harten“ Endpunkten
- Fehlende Berücksichtigung des gesamtgesellschaftlichen Wertes („social value“)

Review von N=497 European Public Assessment Reports (EPARs) der EMA (2017-2022)*

Table 1 Inclusion of PROs/PROMs according to medicines' characteristics

	Any use of PROs/ PROMs		*p*-value
	Yes	No	
Total authorised medicines	240 (48.3%)	257 (51.7%)	
Generic	1 (1.1%)	92 (98.9%)	< 0.001
No generic	239 (59.2%)	165 (40.8%)	
Biosimilar	22 (41.5%)	31 (58.5%)	0.296
No biosimilar	218 (49.1%)	226 (50.9%)	
Orphan	65 (67.1%)	32 (32.9%)	<0.001
No orphan	175 (43.8%)	225 (56.2%)	

PROs patient-reported outcomes, *PROMs* patient-reported outcome measures

EMA – European Medicines Agency

* Meregaglia, M. et al (2023). The Assessment of Patient-Reported Outcomes for the Authorisation of Medicines in Europe: A Review of European Public Assessment Reports from 2017 to 2022. *Appl Health Econ Health Policy* 21, 925–935. https://doi.org/10.1007/s40258-023-00827-3

Forschung & Marktzulassung

Besondere Therapiesituation:
Seltene Erkrankungen & Orphan drugs

Hürden für eine wertorientierte Versorgung:

- Kleine Studienpopulationen
- Fehlende Vergleichsinterventionen
- Problematik des Nachweises eines langfristigen klinischen (Zusatz-)Nutzens in „harten“ Endpunkten
- Fehlende Berücksichtigung des gesamtgesellschaftlichen Wertes („social value“)

Re-Definition des „Nutzens“:

- PROs als ergänzende Endpunkte zur Erfassung des subjektiven Patientennutzens → EMA Regulatory Science Strategy 2025*
- z.B. Multiple Decision Criteria Analyses (MDCA) zur Bestimmung des ganzheitlichen Wertes**
- Kontinuierliche Erfassung von real-world Daten entlang des Versorgungspfades

EMA – European Medicines Agency; PRO – Patient-reported outcomes

* https://www.ema.europa.eu/en/documents/regulatory-procedural-guideline/ema-regulatory-science-2025-strategic-reflection_en.pd
** Blonda, A., Denier, Y., Huys, I., and Simoens, S. (2021). How to Value Orphan Drugs? A Review of European Value Assessment Frameworks. *Frontiers in pharmacology* 12, 631527. https://doi.org/10.3389/fphar.2021.631527

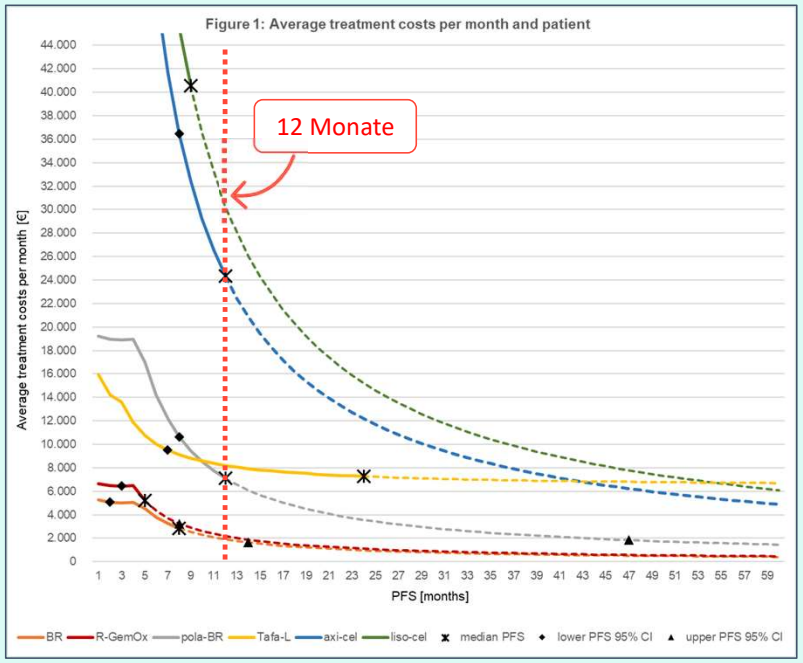
Nutzenbewertung

Besondere Therapiesituation: Gen- und Zelltherapien & Chronische Erkrankungen

Hürden für eine wertorientierte Versorgung:

- Unterschiedliche Behandlungsschemata (Einmaltherapien vs. Dauertherapien) erschweren methodische Vergleichbarkeit
- Fokus Jahrestherapiekosten
- Hohe Anfangsinvestitionen und (anfängliche) Unsicherheit der langfristigen Wirksamkeit
- Fehlende Kosten-Nutzen-Bewertungen zur Bestimmung der Angemessenheit und Zumutbarkeit der Therapiekosten

Amortisierung von Behandlungskosten in der Indikation DLBCL über 5 Jahre*



DLBCL – Diffuses großzelliges B-Zell Lymphom

* Nach: Kurte, M.S. et al (2024). Time-dependent cost comparison and health economic impact analysis of second-line interventions for transplant-ineligible patients with relapsed or refractory diffuse large B cell lymphoma. *Eur J Haematol* 13, 371-383. doi:10.1111/ejh.14248

Nutzenbewertung

Besondere Therapiesituation:
Gen- und Zelltherapien & Chronische Erkrankungen

Hürden für eine wertorientierte Versorgung:

- Unterschiedliche Behandlungsschemata (Einmaltherapien vs. Dauertherapien) erschweren methodische Vergleichbarkeit
- Fokus Jahrestherapiekosten
- Hohe Anfangsinvestitionen und (anfängliche) Unsicherheit der langfristigen Wirksamkeit
- Fehlende Kosten-Nutzen-Bewertungen zur Bestimmung der Angemessenheit und Zumutbarkeit der Therapiekosten

Re-Definition der „Kosten“:

- Holistische Bewertung der Kosten entlang der Patient Journey
- Einbezug von Kosten-Nutzen-Bewertungen und Modellierung langfristiger (Einspar-) Effekte zur Transparenzerhöhung
- Re-Evaluation in „später“ Nutzenbewertung auf Basis von real-world Daten
- Bspw. risk-sharing Ansätze zur Adressierung der Unsicherheit

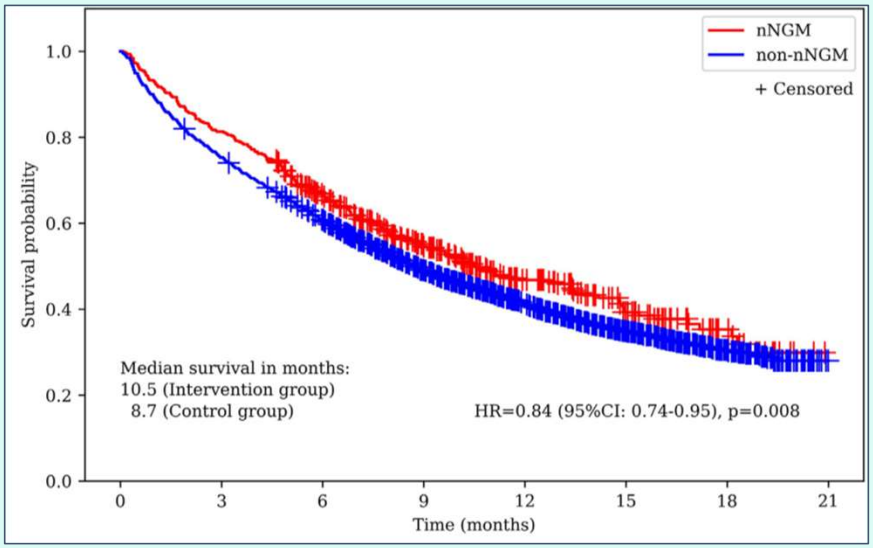
Marktdiffusion

Besondere Therapiesituation:
Innovative (personalisierte) Therapien

Hürden für eine wertorientierte Versorgung:

- Verzug in der Erstattung innovativer Therapien im stationären Sektor
- Finanzierung über krankenhausindividuelle NUB verzögert flächendeckenden Zugang
- Unterschiedliche Erstattungsmodalitäten im ambulanten und stationären Setting: bspw. für die molekular-pathologische Diagnostik
- Fehlende qualitätsorientierte Vergütung

Verlängertes Gesamtüberleben und vermehrter Einsatz zielgerichteter Therapien durch die patientenzentrierte Versorgung im nNGM*



→ **Evaluation von PROs im Rahmen des DigiNet****

nNGM – Nationales Netzwerk Genomische Medizin;
NUB – Neue Untersuchungs- und Behandlungsmethoden

* Kästner, A. et al (2023). Evaluation of the effectiveness of a nationwide precision medicine program for patients with advanced non-small cell lung cancer in Germany: a historical cohort analysis. *The Lancet regional health. Europe* 36, 100788. https://doi.org/10.1016/j.lanepe.2023.100788
** https://diginet.nngm.de/

Marktdiffusion

Besondere Therapiesituation:
Innovative (personalisierte) Therapien

Hürden für eine wertorientierte Versorgung:

- Verzug in der Erstattung innovativer Therapien im stationären Sektor
- Finanzierung über krankenhausindividuelle NUB verzögert flächendeckenden Zugang
- Unterschiedliche Erstattungsmodalitäten im ambulanten und stationären Setting: bspw. fehlende stationäre Refinanzierung der molekular-pathologischen Diagnostik
- Fehlende qualitätsorientierte Vergütung

Re-Definition der „Erstattung“:

- Sektorunabhängige, qualitätsorientierte Erstattung einer innovativen Gesundheitstechnologie
- Kooperation und Vernetzung zur Erfassung des Patientennutzens, aktives Change- und Wissensmanagement
- Begleitende Versorgungsforschung zu Hürden in der Diffusion
- „Kontrollierte Erprobung“ mit begleitender Evaluation

NUB – Neue Untersuchungs- und Behandlungsmethoden

Zusammenfassung

Ein holistischer Bewertungsansatz zwischen Nutzen und Ökonomie

Patient Journey



Re-Definition "Nutzen"

Einbezug von PROs zur Abbildung des ganzheitlichen (holistischen) Nutzens

Re-Definition "Kosten"

Kosten-Nutzen-Bewertungen langfristiger Kosten und möglicher (Einspar-)Effekte

Re-Definition "Erstattung"

Angemessene, sektorunabhängige, qualitätsorientierte Vergütung von Gesundheitsleistungen

Patientenzentrierte Versorgung

Verknüpfung von medizinischen Behandlungsdaten und ökonomischen Daten für eine Wissen generierende Versorgung

Vielen Dank!

VITIS Healthcare Group

https://vitis-healthcare.com/

m.kurte@vitis-healthcare.com

LinkedIn: Melina Kurte

