

Diskurs GKV

Von Daten zu Entscheidungen – Evidenz für wirksame Versorgung

Session 1: Das Problem: Daten≠Evidenz

Wirksamkeit, Patientennutzen, Wirtschaftlichkeit – welche Kriterien sind für die Aufnahme in den GKV-Leistungskatalog relevant?

Leipzig
16. Juni 2026

Dr. med. Regina Klakow-Franck, M.A.
Unparteiisches Mitglied des G-BA 2012-2018

Fragestellungen

Welche Versorgungsmaßnahmen

Untersuchungs- und Behandlungsmethoden
Arzneimittel-, Heil- und Hilfsmittel-Versorgung
Disease Management Programme
besondere Versorgungsformen
innovative Versorgungsprozesse

sind aus Sicht des Gemeinsamen Bundesausschusses

Ausgestaltung des GKV-Leistungskatalogs
evidenzbasierte Entscheidungsfindung

„tatsächlich wirksam“?

„wirtschaftlich sinnvoll“?

„nachhaltig skalierbar“?

Begriffsklärung „Wirksamkeit“

Klinische Wirksamkeit und Sicherheit im Sinne klinischer Prüfungen?

Efficacy? Effectiveness? Efficiency? (HTA-Terminologie)

„tatsächliche Wirksamkeit“ im Sinne des G-BA:

Effekte einer Intervention im Versorgungskontext

→ Konsequenzen für die Patienten:

erwünschte Effekte (Nutzen) vs. unerwünschte Effekte (Schaden)

→Patientennutzen:

Bewertung im Vergleich von

Option A (neu) vs. Option B (Regelversorgung, ZVT)

G-BA: Qualitätsbewertung von Studien

VerfO G-BA

Übertragbarkeit auf die Versorgungsrealität (§ 11 Abs. 4 VerfO):

Entscheidend für die Qualitätsbewertung der Unterlagen:

- > Studienqualität**
- > Ergebnissicherheit (interne, externe Validität)**
- > Übertragbarkeit auf die Versorgungsrealität**

G-BA Gesamtbewertung einer neuen Methode

VerfO G-BA

Nutzen einer Methode (§ 13 Abs. 2 VerfO):

- > Soweit möglich, **Unterlagen der Evidenzstufe I mit patientenbezogenen Endpunkten (z. B. Mortalität, Morbidität, Lebensqualität)**
- > Abwägung **potentieller Nutzen** einer Methode vs. **Risiken**

Medizinische Notwendigkeit (§ 13 Abs. 3 VerfO):

- > Bewertung der medizinischen Notwendigkeit **im Versorgungskontext**
- > unter Berücksichtigung der **Relevanz der medizinischen Problematik, Verlauf und Behandelbarkeit der Erkrankung**
- > insbesondere unter Berücksichtigung der **bereits in der GKV-Versorgung etablierten diagnostischen und therapeutischen Alternativen**

Bewertungsausschuss: Bewertung einer neuen Leistung zur Aufnahme in den EBM VerfO BA

Standardbewertungsverfahren (§ 6 Abs. 1 VerfO BA):

Die Arbeitsgruppe berät zur

- > diagnostischen und / oder therapeutischen Wertigkeit**
- > medizinischen Notwendigkeit**
- > Wirtschaftlichkeit**

der neuen angefragten Leistung für die vertragsärztliche Versorgung.

Bewertungsausschuss

VerfO BA Anlage 1

Fragenkatalog

8. Klinische Fragestellungen (Anwendungsbereiche)	• <i>Beschreiben Sie für jede Ihrer klinischen Fragestellungen (Anwendungsbereiche) die</i> - <i>Population: Zielpopulation</i> - <i>Intervention: vorgeschlagene neue Laborleistung</i> - <i>Comparison: Vergleichsverfahren</i> - <i>Outcome: diagnostische Zielsetzung</i>
--	--

Bewertungsausschuss

VerfO BA Anlage 1

Definitionen

Vergleichsverfahren:

Ein Vergleichsverfahren im Sinne des Fragenkatalogs ist der Test, der in der vertragsärztlichen Routineversorgung für die beantragte Fragestellung etabliert ist.

Dieser kann sich vom Goldstandard (Referenzverfahren) unterscheiden.

Bewertungsausschuss

VerfO BA Anlage 1

10. Vergleichs verfahren	• <i>Benennen und beschreiben Sie das (die) unter Punkt 7, 8 und 9 genannte(n) Vergleichsverfahren.</i> • <i>Geben Sie an, unter welcher / welchen GOP(en) das Vergleichsverfahren bisher im EBM abgerechnet werden kann.</i>
-------------------------------------	---

Typische Fallstricke (1)

Welche Versorgungsmaßnahmen sind aus Sicht des G-BA

„tatsächlich wirksam“?

→ neue Leistungsangebote mit Patienten(zusatz)nutzen und Bedarfsnotwendigkeit im Vergleich zur bisherigen GKV-Regelversorgung

Fallstricke:

→ Externe Validität? Generalisierbarkeit der Studienergebnisse?
Übertragbarkeit der Studienergebnisse auf den GKV-Versorgungskontext?

→ „Richtige“ Zielpopulation und „richtige“ Vergleichsintervention (ggf. ungleich „Goldstandard“)?

→ Systematischer Vergleich von erwünschten (Nutzen) vs. unerwünschten (Schaden) Effekten?

→ Bedarfsnotwendigkeit des neuen Leistungsangebots im Vergleich zur bestehenden GKV-Routineversorgung?

Typische Fallstricke (2)

Welche Versorgungsmaßnahmen sind aus Sicht des G-BA
„wirtschaftlich sinnvoll“?

Fallstricke:

→ Für die Zwecke der GKV-Regelversorgung findet bis dato beim G-BA keine regelhafte Kosten-Nutzen-Bewertung (Kosten-Effektivitäts-Analyse) statt.

Budget-Impact-Analysen, Modellierung von Einsparpotentialen sind von Relevanz für die nachgelagerten Preis-/Vertragsverhandlungen/Abschluss von Selektivverträgen.

Typische Fallstricke (3)

Welche Versorgungsmaßnahmen sind
„nachhaltig skalierbar“?

Fallstricke:

→ **Welcher Ziel-Markt wird angestrebt?**

1. Gesundheitsmarkt? Selbstzahler-Markt?

Reimbursement zu wessen Lasten?

Regelversorgung? Selektivvertrag?

Vergütungssystematik des GKV-Systems (EBM, DRG-Erlös-Logik) früh
genug mitbedacht?

Antwort:

**Neue Versorgungsmaßnahmen haben eine nachhaltige
Wachstumsperspektive,
wenn sie übertragbar auf die GKV-Regelversorgung sind.**

Vielen Dank für Ihre Aufmerksamkeit!

Bewertungsausschuss

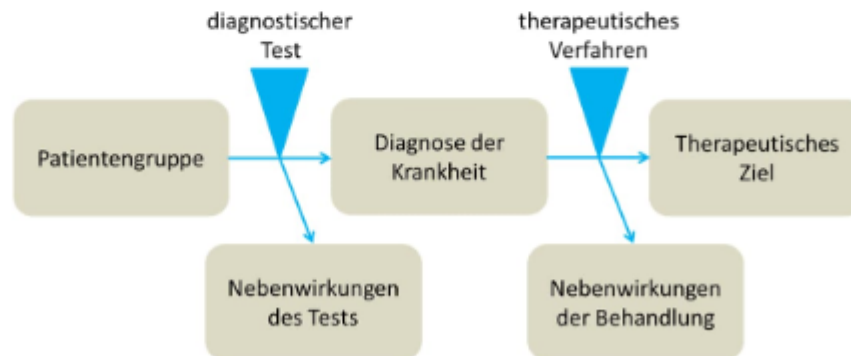
VerfO BA Anlage 1

9. Analytic Framework

Stellen Sie einen oder mehrere Analytic Framework(s) des / der unter Punkt 8 genannten Anwendungsbereiche(s) dar und achten Sie besonders auf Folgendes:

- *Kriterien der Zielgruppe*
- *Diagnostikpfad (Vergleichsverfahren und neue Laborleistung)*
- *Therapiepfad*
- *Untersuchungsfrequenzen*
- *mittelbare und unmittelbare Risiken (falsch-positive und falsch-negative Ergebnisse) und deren Häufigkeiten*

Berücksichtigen Sie dabei, dass Sie jeweils Grafik und erläuternden Text wiedergeben müssen!



verändert nach: McCormick KA, Moore SR, Siegel RA, eds. Methodology perspectives. Washington, DC: US Department of Health and Human Services, Agency for Health Care Policy and Research, 1994:105-113

(Keine) Kosten-Nutzen-Bewertung im GKV-System

[IQWiG Allgemeine Methoden 2025]

Der Begriff Kosten-Nutzen-Analyse bezeichnet in der gesundheitsökonomischen Terminologie eine Analyse, in der sowohl die Kosten als auch der Nutzen in monetären Einheiten ausgedrückt werden. Diese Analyseform kommt vergleichsweise selten zur Anwendung. Im SGB V ist der Begriff Kosten-Nutzen-Bewertung (KNB) folglich eher als Oberbegriff für vergleichende gesundheitsökonomische Analysen im Allgemeinen intendiert. Als relevante vergleichende Analyseformen kommen darunter vor allem die Kosten-Effektivität-Analysen und die Kosten-Nutzwert-Analysen infrage. Letztere sieht man im englischsprachigen Raum häufig als eine Unterform der Kosten-Effektivitäts-Analysen an [229]. Im Folgenden wird daher einheitlich der Begriff Kosten-Effektivitäts-Verhältnis verwendet, als Zielgröße von gesundheitsökonomischen Evaluationen. Des Weiteren werden Ausgaben-Einfluss-Analysen (Budget-Impact-Analysen), die häufig zusätzlich zu einer der vergleichenden Formen gesundheitsökonomischer Evaluationen durchgeführt werden, ebenfalls thematisiert [160].

IQWiG: Qualitätsbewertung von Studien

[IQWiG Allgemeine Methoden 2025]

1.3.4 Die Bedeutung der Ergebnissicherheit

Eine Besonderheit der EbM ist, dass sie eine Einschätzung erlaubt, inwieweit das vorhandene Wissen zuverlässig ist. Die Ergebnissicherheit klinischer Studien hängt primär von 3 Aspekten ab:

- Der internen Validität, die durch das gewählte Studiendesign und die tatsächliche Umsetzung bestimmt wird.
- Der externen Validität, die zum Beispiel von der Wahl der Interventionen und Selektion der teilnehmenden Populationen abhängt.
- Der statistischen Präzision, die zum Beispiel durch die Größe einer Studie und die Reliabilität der Endpunkterhebung beeinflusst wird.

Die Bewertung der Ergebnissicherheit und die Beschreibung der Wissenslücken spielen in den Berichten des Instituts eine zentrale Rolle. Zahlreiche Details, wie Studien geplant, durchgeführt, ausgewertet und veröffentlicht wurden, haben einen Einfluss darauf, wie verlässlich die vorhandenen Ergebnisse sind.

Health Technology Assessment International (HTAi) Policy Forum 2015

Early in phase II, dialogue may consider the potential population to be treated. Later in phase II, predictive models of the value of the technology are needed that seek to identify what evidence is needed, when. Specific issues around evidence production in phase III that are important for decisions on adoption should be discussed, including:

- *which patients should be treated*
- *comparators (place in clinical pathway and comparators for direct or indirect comparisons)*
- *key outcomes (relevant for decision makers and patients) and method by which these can best be measured or estimated*
- *expected benefits in terms of effectiveness (including duration of benefit) and associated resource use*
- *generalizability of evidence*
- *organization of services to optimize delivery*
- *anticipated budget impact*
- *risk sharing and need for co-payments*
- *management of uncertainty.*

(35) Für die Durchführung der gemeinsamen klinischen Bewertung eines Arzneimittels sollten vorzugsweise direkt vergleichende klinische Studien, die randomisiert und verblindet sind sowie eine Kontrollgruppe umfassen, und deren Methodik den internationalen Standards der evidenzbasierten Medizin entspricht, in Betracht gezogen werden. Diese Herangehensweise sollte jedoch verfügbare Beobachtungsstudien, auch solche auf der Grundlage von Daten aus der Praxis, nicht von vornherein ausschließen.

(37) Bei der Festlegung des Zeitrahmens für gemeinsame klinische Bewertungen von Medizinprodukten und In-vitro-Diagnostika sollte dem stark dezentralisierten Marktzugangsweg dieser Produkte und der Verfügbarkeit für gemeinsame klinische Bewertungen benötigter geeigneter Nachweisdaten Rechnung getragen werden. Da die erforderlichen Nachweise möglicherweise erst nach der Markteinführung eines Medizinprodukts oder In-vitro-Diagnostikums zur Verfügung stehen und diese damit zu einem geeigneten Zeitpunkt für eine gemeinsame klinische Bewertung ausgewählt werden können, sollten Bewertungen solcher Produkte nach ihrer Markteinführung durchgeführt werden können.

EU Artikel 2 Begriffsbestimmungen -1-

VERORDNUNG (EU) 2021/2282 DES EUROPÄISCHEN PARLAMENTS UND DES RATES vom 15. Dezember 2021

über die Bewertung von Gesundheitstechnologien und zur Änderung der Richtlinie 2011/24/EU

5. „Bewertung von Gesundheitstechnologien“ oder „HTA“ einen multidisziplinären Prozess, bei dem die Informationen über medizinische, patientenbezogene und soziale Aspekte sowie über wirtschaftliche und ethische Fragen, die mit der Nutzung einer Gesundheitstechnologie verbunden sind, auf systematische, transparente, unvoreingenommene und aussagekräftige Weise zusammengefasst werden;
6. „gemeinsame klinische Bewertung“ einer Gesundheitstechnologie die wissenschaftliche Zusammenstellung und Beschreibung einer vergleichenden Analyse der verfügbaren klinischen Nachweise über eine Gesundheitstechnologie im Vergleich zu einer oder mehreren anderen Gesundheitstechnologien oder einem oder mehreren anderen bestehenden Verfahren im Einklang mit einem im Rahmen dieser Verordnung vereinbarten Bewertungsumfang sowie auf der Grundlage der wissenschaftlichen Aspekte der klinischen Bereiche der HTA: Beschreibung des gesundheitlichen Problems, bei dem die Gesundheitstechnologie angewandt wird, sowie anderer Gesundheitstechnologien, die derzeit bei diesem Gesundheitsproblem angewandt werden, Beschreibung und technische Charakterisierung der Gesundheitstechnologie, relative klinische Wirksamkeit sowie relative Sicherheit der Gesundheitstechnologie;
7. „nichtklinische Bewertung“ den Teil einer HTA, der sich auf nichtklinische Bereiche der HTA der Kostenabschätzung und wirtschaftliche Bewertung einer Gesundheitstechnologie sowie die ethischen, organisatorischen, sozialen und rechtlichen Aspekte ihrer Anwendung stützt;

§ 13 Gesamtbewertung im Versorgungskontext

VerfO G-BA

Nutzen einer Methode (§ 13 Abs. 2 VerfO):

1Der Nutzen einer Methode ist durch qualitativ angemessene Unterlagen zu belegen. 2Dies sollen, soweit möglich, Unterlagen der Evidenzstufe I mit patientenbezogenen Endpunkten (z. B. Mortalität, Morbidität, Lebensqualität) sein.

4Soweit qualitativ angemessene

Unterlagen dieser Aussagekraft nicht vorliegen, erfolgt die Nutzen-Schaden-Abwägung einer Methode aufgrund qualitativ angemessener Unterlagen niedrigerer Evidenzstufen.

5Die Anerkennung des medizinischen Nutzens einer Methode auf Grundlage von Unterlagen einer niedrigeren Evidenzstufe bedarf jedoch - auch unter Berücksichtigung der jeweiligen medizinischen Notwendigkeit - zum Schutz der Patientinnen und Patienten umso mehr einer Begründung, je weiter von der Evidenzstufe I abgewichen wird. 6Dafür ist der potentielle Nutzen einer Methode, insbesondere gegen die Risiken der Anwendung bei Patientinnen oder Patienten abzuwägen, die mit einem Wirksamkeitsnachweis geringerer Aussagekraft einhergehen.

Medizinische Notwendigkeit (§ 13 Abs. 3 VerfO):

1Die Bewertung der medizinischen Notwendigkeit erfolgt im Versorgungskontext unter Berücksichtigung der Relevanz der medizinischen Problematik, Verlauf und Behandelbarkeit der Erkrankung und insbesondere der bereits in der GKV-Versorgung etablierten diagnostischen und therapeutischen Alternativen.

Übertragbarkeit auf die Versorgungsrealität (§ 11 Abs. 4 VerfO):

Entscheidend für die Qualitätsbewertung der Unterlagen sind die Studienqualität und die Übertragbarkeit auf die Versorgungsrealität.

Bewertungsausschuss VerfO BA

§ 6 Abs. 1

Die Arbeitsgruppe berät zur diagnostischen und / oder therapeutischen Wertigkeit, der medizinischen Notwendigkeit und der Wirtschaftlichkeit der neuen angefragten Leistung für die vertragsärztliche Versorgung.

§ 7 Abs. 4

Die Beurteilung gleichwertiger und nicht gleichwertiger therapeutischer Leistungen hat gemäß Anlage 3 III. B. Nummer 6 zu erfolgen. Bei gleichwertigen Leistungen ist eine vergleichbare Wirksamkeit der neuen Leistung gegenüber der etablierten Leistung nachzuweisen. Bei nicht gleichwertigen Leistungen ist der Unterschied der neuen Leistung gegenüber dem Vergleichsverfahren hinsichtlich relevanter Endpunkte (insbesondere patientenrelevanter Endpunkte) nachzuweisen

Klinische Bewertung gem. EU-HTA

2011/24/EU Richtlinie über die Bewertung von Gesundheitstechnologien

EU VERORDNUNG EU 2021/2282 DES EUROPÄISCHEN PARLAMENTS UND DES
RATES vom 15. Dezember 2021

9. „Bewertungsumfang“ die von den Mitgliedstaaten gemeinsam in Auftrag gegebenen Parameter für eine gemeinsame klinische Bewertung in Bezug auf Patientenpopulation, Intervention, Komparatoren und gesundheitsbezogene Endpunkte.