

# Kosten-Nutzen-Bewertung auf Abwegen ...

Georg Marckmann<sup>a</sup>

<sup>a</sup> Institut für Ethik, Geschichte und Theorie der Medizin, Ludwig-Maximilians-Universität München

Der Entscheid des Schweizerischen Bundesgerichts zur Frage der Kostenübernahme von Myozyme<sup>®</sup> bei spät manifestierendem Morbus Pompe bietet Anlass, sich noch einmal die moralische Relevanz der Gesundheitsversorgung zu verdeutlichen. Erkrankungen und Behinderungen schränken die Lebensmöglichkeiten der Betroffenen zum Teil erheblich ein. Prävention, Behandlung, Rehabilitation und funktionelle Unterstützung besitzen das Potenzial, die Lebensmöglichkeiten zu erhalten oder (zumindest teilweise) wiederherzustellen. Sie können damit einen Beitrag zur Chancengleichheit in der Gesellschaft leisten, was aus Gerechtigkeitsgründen geboten ist [1]. Die Hilfspflichten sind folglich umso grösser, je stärker die Lebenschancen der Menschen eingeschränkt sind (= Schweregrad der Erkrankung) und je grösser der mögliche Zugewinn an Lebenschancen ist (= Nutzensgewinn durch die Massnahme).

Diese ethischen Überlegungen sollten auch für die Kostenübernahme durch die Krankenkassen massgeblich sein. Das Schweizerische Bundesgericht hat sich deshalb vollkommen zu Recht zunächst mit der Frage des therapeutischen Nutzens von Myozyme befasst. Wie bei anderen seltenen Erkrankungen sind empirische Nachweise vom Nutzen nur eingeschränkt verfügbar, was die Nutzenbewertung deutlich erschwert. Dennoch erscheint es – vor allem im Interesse der betroffenen Patienten – richtig, so weit wie möglich an den Grundsätzen einer evidenzbasierten Medizin festzuhalten.

Das Bundesgericht stand nun vor der schwierigen Aufgabe zu entscheiden, ob die in der LOTS-Studie nachgewiesene statistisch signifikante Verlängerung der Gehstrecke um knapp 30 Meter (etwa 10%) und die Verbesserung der Vitalkapazität der Lunge um 3,4 Prozentpunkte über den Beobachtungszeitraum von 78 Wochen hinweg einen «hohen» therapeutischen Nutzen darstellt [2]. Dabei stellt sich zunächst die Frage, ob es ethisch gerechtfertigt ist, für die Kostenübernahme ausserhalb der Spezialitätenliste einen «hohen» therapeutischen Nutzen zu fordern, während dies für viele zugelassene Interventionen sicher nicht der Fall sein dürfte. Darüber hinaus wäre zu berücksichtigen, dass bei der (unbehandelt) unaufhaltsam fortschreitenden Erkrankung vor allem relevant ist, wie sich der Krankheitsverlauf *längerfristig* beeinflussen lässt. Hierzu liegen aber offenbar noch keine verlässlichen empirischen Daten vor, so dass es eigentlich geboten wäre, die Behandlung im Rahmen einer klinischen Studie zur Verfügung zu stellen («coverage with evidence development»), da auf diese Weise ein – kon-

trollierter – Zugang zur Behandlung mit einer Verbesserung des empirischen Nutzens nachweisbar verbunden werden kann. Für dieses Vorgehen spräche auch der hohe Schweregrad der Erkrankung, der aufgrund der erheblich eingeschränkten Lebenschancen vergleichsweise hohe Hilfspflichten begründet.

Das Bundesgericht geht in seinem Entscheid aber über eine reine Nutzenbewertung hinaus: Selbst wenn ein hoher therapeutischer Nutzen erwiesen wäre, sei eine Leistungspflicht aufgrund des schlechten Kosten-Nutzen-Verhältnisses zu verneinen. Unter Bedingungen begrenzt verfügbarer öffentlicher Ressourcen – und davon müssen wir nicht nur in der Schweiz ausgehen – ist es auch aus ethischer Sicht durchaus geboten, das Kosten-Nutzen-Verhältnis medizinischer Massnahmen bei der Gestaltung des Leistungsumfangs mit zu berücksichtigen [3].

Allerdings weist die Kosten-Nutzen-Bewertung verschiedene methodische und ethische Herausforderungen auf. Insbesondere ist die Frage zu beantworten, welches Kosten-Nutzen-Verhältnis noch als akzeptabel anzusehen ist. Es sollte deshalb eine explizite, demokratisch legitimierte und rechtlich verankerte Entscheidung vorliegen, dass die Kostenübernahme für nützliche Behandlungsmassnahmen aufgrund von Kosten-Nutzen-Überlegungen eingeschränkt werden soll. Es handelt sich dabei um eine andere Anwendung des Wirtschaftlichkeitsprinzips, als dies durch den Art. 32 Abs. 1 KVG bereits heute vorgesehen ist: Demnach soll von zwei Behandlungen mit einem vergleichbaren medizinischen Nutzen diejenige mit den niedrigeren Kosten ausgewählt werden. Dies ist eine aus ethischer Sicht nicht nur unproblematische, sondern schlichtweg gebotene Anwendung von Kosten-Nutzen-Erwägungen: Sie erhöht – als Rationalisierungsmassnahme – die Effizienz der Versorgung, ohne dass Patienten auf einen Nutzensgewinn verzichten müssen. Der aktuelle Entscheid des Bundesgerichts geht aber eindeutig über den Art. 32 Abs. 1 KVG hinaus, da eine (potenziell) *nützliche* Massnahme aus Kostengründen ausgeschlossen wird, so dass die Legitimation hierfür zumindest in Frage zu stellen ist.

Wenn eine Kosten-Nutzen-Bewertung durchgeführt werden soll, muss dies auf Grundlage einer validen Nutzenbewertung und nach den etablierten methodischen Standards erfolgen. Ein Vergleich der (Jahres-) Behandlungskosten, wie es das Bundesgericht getan hat, reicht hier in keiner Weise aus: Die Kosten werden nicht systematisch erfasst (nicht nur die akuten direkten, sondern auch die längerfristigen indirekten Kosten

sind zu berücksichtigen), zudem wird der Nutzen-gewinn entweder gar nicht oder mit keinem einheitlichen Massstab wie z.B. den qualitätsbereinigten Lebensjahren (QALY) gemessen, so dass ein valider Nutzenvergleich über die verschiedenen Indikationen hinweg nicht möglich ist. Insofern fehlt dem Entscheid des Bundesgerichtes bei der Beurteilung des Kosten-Nutzen-Verhältnisses nicht nur eine ausreichende Legitimation, sondern auch die erforderliche methodische Grundlage.

Aus ethischer Sicht erscheint es überdies problematisch, den Grundsatz der Gleichbehandlung auf das Verhältnis zwischen (finanziellem) Aufwand und Nutzen von staatlichen Hilfsleistungen zu beziehen. Wie die Erfahrungen des US-Staats Oregon mit der ersten Prioritätenliste deutlich zeigen, sind vergleichbare Kosten-Nutzen-Verhältnisse nicht mit gleich starken Hilfspflichten verbunden [4]. Ob es geboten ist, eine bestimmte Unterstützungsleistung öffentlich finanziert zur Verfügung zu stellen, hängt vielmehr, wie eingangs ausgeführt, von der individuellen Bedürftigkeit (= Grad der Einschränkungen) und dem Ausmass der leistbaren Hilfe (= Nutzensgewinn) ab. Der Gleichheitsgrundsatz sollte folglich sicherstellen, dass Menschen in vergleichbarer Not auch in vergleichbarem Umfang geholfen wird, auch wenn dies jeweils einen unterschiedlich hohen Ressourcenaufwand erfordert.

Wie könnte eine Kosten-Nutzen-Bewertung dann ethisch vertretbar umgesetzt werden? Zunächst ist sicherzustellen, dass die Beurteilung des Kosten-Nutzen-Verhältnisses auf einer validen Nutzenbewertung beruht. Solange diese Voraussetzung nicht erfüllt ist – wie dies bei vielen innovativen Therapien seltener Erkrankungen oder in der Onkologie der Fall ist –, muss zunächst der *Nutzennachweis* verbessert werden, idealerweise durch öffentlich finanzierte, vom Hersteller unabhängige Studien. Auf dieser Basis sollte dann von einer hierfür kompetenten Institution (nicht durch Gerichte!) nach den anerkannten Methoden eine ökonomische Evaluierung durchgeführt werden (Kosten-Effektivitäts- oder Kosten-Nutzwert-Analyse), die Kosten und Nutzen über einen längeren Zeithorizont hinweg systematisch und umfassend abschätzt.

Das Ergebnis dieser Kosten-Nutzen-Bewertung kann dann in Überlegungen zum Leistungsumfang der Krankenkassen einfließen. Vergleichsweise unproblematisch ist es, wenn man sie als Grundlage für Preisverhandlungen mit den Herstellern verwendet und in Abhängigkeit vom Nutzensgewinn Höchstpreise festlegt. Dies wäre auch bei seltenen Enzymdefekterkrankun-

gen wie dem Morbus Pompe eine dringend gebotene Strategie.

Ethisch wesentlich brisanter ist hingegen der Ausschluss von nützlichen Massnahmen aufgrund eines schlechten Kosten-Nutzen-Verhältnisses. Ein *einheitlicher, fester* Schwellenwert über alle Indikationen hinweg wäre ethisch nicht vertretbar. Vielmehr sollten auch Massnahmen mit einem schlechten Kosten-Nutzen-Profil mit einer besonderen Begründung in den Leistungskatalog aufgenommen werden können – wie es (zumindest dem Grundsatz nach) auch das britische National Institute for Health and Clinical Excellence (NICE) praktiziert [5]. Als Gründe hierfür kommen ein grosser individueller Nutzensgewinn, ein hoher Schweregrad der Erkrankung oder auch das Innovationspotenzial (d.h. der potenzielle Nutzensgewinn für zukünftige Patienten) in Frage. Insbesondere sollten solche hochpreisigen Massnahmen ausgeschlossen werden, die (vorzugsweise leichter erkrankten) Patienten einen geringen Nutzensgewinn bei Verfügbarkeit einer kostengünstigeren Alternative bieten. Zur Umsetzung bieten sich kostensensible Leitlinien an, die den Einsatzbereich teurer Interventionen auf diejenigen Patientengruppen einschränken, die am meisten von ihnen profitieren [6].

---

#### Korrespondenzadresse

Prof. Dr. med. Georg Marckmann, MPH  
Institut für Ethik, Geschichte und Theorie der Medizin  
Ludwig-Maximilians-Universität München  
Lessingstrasse 2  
D-80336 München

E-Mail: marckmann@lmu.de

---

#### Referenzen

1. Daniels N. Just health: Meeting health needs fairly. Cambridge: Cambridge University Press; 2008.
2. van der Ploeg AT, Clemens PR, Corzo D, Escolar DM, Florence J, Groeneveld GJ et al. A randomized study of alglucosidase alfa in late-onset Pompe's disease. *N Engl J Med*. [Multicenter Study Randomized Controlled Trial Research Support, Non-U.S. Gov't]. 2010;362(15):1396–406.
3. Marckmann G. Nutzenmaximierung mit gerechtigkeitsethischen Einschränkungen: Perspektiven einer ethisch vertretbaren Kosten-Nutzen-Bewertung. *Das Gesundheitswesen*. 2009;71(Suppl. 1): S2–S8.
4. Marckmann G, Siebert U. Prioritäten in der Gesundheitsversorgung: Was können wir aus dem «Oregon Health Plan» lernen? *Dtsch Med Wochenschr*. 2002;127(30):1601–4.
5. Rawlins MD, Culyer AJ. National Institute for Clinical Excellence and its value judgments. *BMJ*. 2004;329(7459):224–7.
6. Marckmann G, Strech D. Kostensensible Leitlinien als Priorisierungsinstrument. In: Diederich A, Koch C, Kray R, Sibbel R, editors. *Priorisierte Medizin. Ausweg oder Sackgasse der Gesundheitsgesellschaft?* Wiesbaden: Gabler Verlag; 2011. p. 75–98.