

M. Perleth | R. Busse | S. Fuchs
A. Gerhardus | B. Gibis | D. Lühmann
(Hrsg.)

Health Technology Assessment

Konzepte, Methoden, Praxis
für Wissenschaft und
Entscheidungsfindung

3. Auflage



Medizinisch Wissenschaftliche Verlagsgesellschaft

M. Perleth | R. Busse | S. Fuchs | A. Gerhardus | B. Gibis | D. Lühmann (Hrsg.)

Health Technology Assessment

3. Auflage



Medizinisch Wissenschaftliche Verlagsgesellschaft

M. Perleth | R. Busse | S. Fuchs | A. Gerhardus
B. Gibis | D. Lühmann (Hrsg.)

Health Technology Assessment

Konzepte, Methoden, Praxis für Wissenschaft und Entscheidungsfindung

3. Auflage

mit Beiträgen von

A. Behring | R. Busse | S. Droste[†] | K. Engelke | K. Felgenträger | S. Fuchs
A. Gerhardus | B. Gibis | R. Großelfinger | D. Lühmann | K. Matthias | M. Mertz
M. Nocon | M. Perleth | A. Rüter | A.K. Stich | M. Velasco Garrido
S. Vollenweider | S. Waffenschmidt | C. Wild | I. Zechmeister-Koss



Medizinisch Wissenschaftliche Verlagsgesellschaft

Das Herausgeber-Team

PD Dr. med. Matthias Perleth, MPH
Gemeinsamer Bundesausschuss
Abteilung Fachberatung Medizin
Gutenbergstraße 13
10587 Berlin

**Prof. Dr. med. Reinhard Busse, MPH
FFPH**
Technische Universität Berlin
Fachgebiet Management im
Gesundheitswesen
Straße des 17. Juni 135
10623 Berlin

Dr. PH Sabine Fuchs, MScPH
Gemeinsamer Bundesausschuss
Abteilung Fachberatung Medizin
Gutenbergstraße 13
10587 Berlin

**Prof. Dr. med. Ansgar Gerhardus,
MA, MPH**
Universität Bremen
Institut für Public Health und
Pflegeforschung
Abteilung für Versorgungsforschung
Grazer Straße 4
28359 Bremen

Dr. med. Bernhard Gibis, MPH
Kassenärztliche Bundesvereinigung
Dezernat 4 (Ärztliche Leistungen und
Versorgungsstruktur)
Herbert-Lewin-Platz 2
10623 Berlin

Dr. med. Dagmar Lühmann
Universitätsklinikum Hamburg-
Eppendorf
Institut für Allgemeinmedizin
Martinistraße 52
20246 Hamburg

MWV Medizinisch Wissenschaftliche Verlagsgesellschaft mbH & Co. KG
Unterbaumstr. 4
10117 Berlin
www.mwv-berlin.de

ISBN 978-3-95466-887-8

Bibliografische Information der Deutschen Nationalbibliothek

Die Deutsche Nationalbibliothek verzeichnet diese Publikation in der Deutschen Nationalbibliografie; detaillierte bibliografische Informationen sind im Internet über <http://dnb.d-nb.de> abrufbar.

© MWV Medizinisch Wissenschaftliche Verlagsgesellschaft Berlin, 2023

Dieses Werk ist einschließlich aller seiner Teile urheberrechtlich geschützt. Die dadurch begründeten Rechte, insbesondere die der Übersetzung, des Nachdrucks, des Vortrags, der Entnahme von Abbildungen und Tabellen, der Funksendung, der Mikroverfilmung oder der Vervielfältigung auf anderen Wegen und der Speicherung in Datenverarbeitungsanlagen, bleiben, auch bei nur auszugsweiser Verwertung, vorbehalten.

Die Wiedergabe von Gebrauchsnamen, Handelsnamen, Warenbezeichnungen usw. in diesem Werk berechtigt auch ohne besondere Kennzeichnung nicht zu der Annahme, dass solche Namen im Sinne der Warenzeichen- und Markenschutz-Gesetzgebung als frei zu betrachten wären und daher von jedermann benutzt werden dürften. Im vorliegenden Werk wird zur allgemeinen Bezeichnung von Personen nur die männliche Form verwendet, gemeint sind immer alle Geschlechter, sofern nicht gesondert angegeben. Sofern Beitragende in ihren Texten gendergerechte Formulierungen wünschen, übernehmen wir diese in den entsprechenden Beiträgen oder Werken.

Die Verfassenenden haben große Mühe darauf verwandt, die fachlichen Inhalte auf den Stand der Wissenschaft bei Drucklegung zu bringen. Dennoch sind Irrtümer oder Druckfehler nie auszuschließen. Der Verlag kann insbesondere bei medizinischen Beiträgen keine Gewähr übernehmen für Empfehlungen zum diagnostischen oder therapeutischen Vorgehen oder für Dosierungsanweisungen, Applikationsformen oder ähnliches. Derartige Angaben müssen vom Leser im Einzelfall anhand der Produktinformation der jeweiligen Hersteller und anderer Literaturstellen auf ihre Richtigkeit hin überprüft werden. Eventuelle Errata zum Download finden Sie jederzeit aktuell auf der Verlags-Website

Produkt-/Projektmanagement: Lisa Dörflinger, Berlin
Lektorat: Monika Laut-Zimmermann, Berlin

Layout & Satz & Herstellung: zweiband.media, Agentur für Mediengestaltung und -produktion GmbH, Berlin

Zuschriften und Kritik an:

MWV Medizinisch Wissenschaftliche Verlagsgesellschaft mbH & Co. KG, Unterbaumstr. 4, 10117 Berlin, lektorat@mwv-berlin.de

Vorwort zur 3. Auflage

Die Herausgeberinnen und Herausgeber freuen sich, die nunmehr 3. Auflage des HTA-Lehrbuchs vorlegen zu können. Zielgruppen sind Studierende, Nutzerinnen und Nutzer sowie Ersteller von HTA-Berichten. Sie alle halten das nach wie vor einzige deutschsprachige Lehrbuch zum Thema Health Technology Assessment (HTA) in ihren Händen.

Neun Jahre nach dem Erscheinen der 2. Auflage war eine Aktualisierung überfällig:

- Es gibt neue rechtliche und methodische Entwicklungen, die in teilweise deutlich veränderte Rahmenbedingungen münden.
- Die rasante Entwicklung von Methoden und technischen Möglichkeiten, bspw. in den Informationswissenschaften, wirkt sich auch auf die Technologiebewertung aus.

Gänzlich neu konzipiert wurden daher die Kapitel 3 zu HTA in Europa und Kapitel 5 „Informationsmanagement“, um auch den neuen Schwerpunkten in Europa Rechnung zu tragen.

Auch die anderen Kapitel wurden teilweise neu gestaltet bzw. umstrukturiert und aktualisiert.

Dr. Sabine Fuchs ist als neue Mit-Herausgeberin zu uns gestoßen. Erneut konnten in allen relevanten Bereichen kompetente und in das Geschehen involvierte Autorinnen und Autoren gewonnen werden.

Unser Dank geht an Dr. Hopfe und das Team der MWV Medizinisch Wissenschaftlichen Verlagsgesellschaft für die gute Betreuung und das Wagnis einer erneuten Auflage sowie an alle neuen und bisherigen Autorinnen und Autoren, die dazu beigetragen haben, ein umfassendes Lehrbuch zu schaffen.

Die Herausgeberinnen und Herausgeber

Berlin, Bremen, Hamburg

im August 2023

Vorwort zur 2. Auflage

In den rund 6 Jahren, die seit der ersten Auflage des ersten deutschsprachigen Lehrbuchs für Health Technology Assessment vergangen sind, hat sich die evidenzbasierte Entscheidungsfindung in Deutschland kontinuierlich weiterentwickelt; in manchen Bereichen, wie etwa bei Arzneimitteln, sogar in bemerkenswerter Weise. Den Entwicklungen in Deutschland, aber auch in Europa, trägt die rundum erneuerte und stark erweiterte zweite Auflage Rechnung.

Das Werk gliedert sich nun in 9 Kapitel. Vollständig neu erstellt wurde das vierte Kapitel, das detailliert die Vorgehensweise und das Methodenspektrum bei der Erstellung von HTA-Berichten beschreibt. Das bisherige Kapitel zur Methodik wurde in die drei separaten Kapitel 6 bis 8 geteilt und aktualisiert. Die bisherigen Kapitel 3 (Statusbestimmung von Technologien) und 7 (praktische Aspekte von HTA) wurden in die neu gestalteten Kapitel 1, 2 und 9 integriert. Insgesamt hat das Buch dadurch eine einheitlichere und logischere Struktur. Zahlreiche Beispiele, die auch in der universitären Ausbildung verwendet werden, Übersichtstabellen und klare Definitionen gewährleisten eine umfassende Darstellung des Gebiets.

Aktuelle politische Entwicklungen (u. a. die frühe Nutzenbewertung von Arzneimitteln, die Erprobungsregelung von diagnostischen und therapeutischen Behandlungsmethoden, die Entwicklungen der europäischen Gesetzgebung bei Medizinprodukten), die neuere Rechtsprechung, die zunehmende Vernetzung von HTA-Einrichtungen sowie methodische Weiterentwicklungen wurden berücksichtigt. Abgerundet wird das Buch durch ein umfangreiches Literaturverzeichnis sowie ein Sachwortverzeichnis.

Die Herausgeber bedanken sich bei allen Autoren und insbesondere beim Team des HTA-Online-Kurses an der TU Berlin, das an der Restrukturierung des Lehrbuchs ganz wesentlichen Anteil hat. Unser Dank gilt wieder Dr. Thomas Hopfe und der MWV Medizinisch Wissenschaftlichen Verlagsgesellschaft für die geduldige und fachkundige Begleitung bei der Erstellung der zweiten Auflage.

*Die Herausgeber
Berlin, Bremen, Hamburg
im Juni 2014*

Vorwort zur 1. Auflage

Liebe Leserinnen und Leser,

Sie halten das erste deutschsprachige Lehrbuch zur Bewertung medizinischer Technologien, Health Technology Assessment (HTA), in der Hand. In den vergangenen zehn Jahren hat sich HTA international wie auch in Deutschland, Österreich und der Schweiz kontinuierlich weiterentwickelt. Inzwischen nimmt HTA eine Schlüsselposition bei vielen wichtigen Entscheidungen in den Gesundheitssystemen der Industrienationen und zunehmend auch der Schwellenländer ein. Dies betrifft z.B. die Aufnahme von Technologien in den Leistungskatalog (also die öffentliche Kostenübernahme für Dienstleistungen oder Produkte), Investitionen in Großgeräte oder Maßnahmen der bevölkerungsbezogenen Prävention. HTA beschäftigt sich mit den wichtigen Fragen der Anpassung der Gesundheitsversorgung an den medizinisch-technischen Fortschritt und der Vereinbarkeit mit gesellschaftlichen Präferenzen – immer unter den Bedingungen begrenzter finanzieller Ressourcen.

HTA verfügt über ein multidisziplinäres Methodenrepertoire, welches es erlaubt, ein weit größeres Spektrum von Wirkungen und Auswirkungen medizinischer Technologien zu betrachten, als das beispielsweise in der klinisch orientierten evidenzbasierten Medizin der Fall ist. Dazu gehören Elemente der evidenzbasierten Medizin, der Gesundheitsökonomie, der Medizinethik oder der Sozialforschung. Das ist auch notwendig angesichts der Tragweite der Entscheidungen, die durch HTA unterstützt werden sollen. Um HTAs verstehen und nutzen zu können, ist ein Überblick über die Konzepte, Methoden und Vorgehensweisen dieser Disziplinen unabdingbar.

Das Buch richtet sich daher an Personen, die sich einen solchen Überblick verschaffen wollen und gleichzeitig die Gewissheit brauchen, ausreichend fundiert beraten zu werden. Dies sind in erster Linie Verfahrensbeteiligte, die Entscheidungen über Gesundheitstechnologien treffen. Hierzu gehören Vertreter von Verbänden, Krankenkassen, Krankenhäusern oder der Industrie, ebenso wie praktisch tätige Ärzte, Gesundheitspolitiker und Patientenvertreter. Studierende der Gesundheitswissenschaften und Wissenschaftler, die selbst HTAs erstellen wollen, finden eine systematische und didaktische Einführung in das Gebiet.

Es erwartet Sie eine grundlegende Einführung in die Prinzipien von HTA und die institutionellen und rechtlichen Rahmenbedingungen im Gesundheitswesen. Das Buch setzt sich mit Priorisierung, Informations- und Wissensmanagement sowie mit Projektmanagement auseinander. Darüber hinaus bietet es eine ausführliche methodische Anleitung in die Bewertung von Sicherheit, Wirksamkeit, Wirtschaftlichkeit, ethischen, organisatorischen sowie sozio-kulturellen und rechtlichen Aspekten von medizinischen Technologien.

Während es eine Fülle von singulären und weit verstreuten Abhandlungen einzelner Aspekte der Bewertung von medizinischen Technologien gibt, wird hiermit erstmals im deutschsprachigen Raum der Versuch einer Kanonisierung des Gegenstands Health Technology Assessment unternommen. Damit wird auch die Bemühung fortgeführt, HTA in der universitären Lehre sowie in der Fortbildung zu verankern, wie sie sich bereits im Curriculum Health Technology Assessment niedergeschlagen hat. Die Autoren und Herausgeber dieses Buches waren und sind an der Entwicklung von HTA nicht unerheblich beteiligt. Einige erstellen in akademischen Institutionen HTAs und entwickeln Theorie und Methodik weiter. Andere arbeiten an den Schnitt-

Vorwort zur 1. Auflage

stellen zwischen Wissenschaft und Entscheidungsgremien und formulieren von dort aus den wechselseitigen Bedarf. Für die Erstellung des Buches waren beide Perspektiven wichtig.

Die Herausgeber bedanken sich bei Dr. Thomas Hopfe und seinem Team von der MWV Medizinisch Wissenschaftlichen Verlagsgesellschaft Berlin für die Annahme der verlegerischen Herausforderung, die erste Auflage des HTA-Lehrbuchs zu betreuen. Ferner sind wir den Autoren für ihre profunden Beiträge zu Dank verpflichtet, die sie zum großen Teil in ihrer wertvollen Freizeit verfasst haben.

*Die Herausgeber
Berlin, Bielefeld, Kopenhagen, Lübeck
im November 2007*

Die Autorinnen und Autoren

Dr. rer. nat. Antje Behring
Gemeinsamer Bundesausschuss
Abteilung Arzneimittel
Gutenbergstraße 13
10587 Berlin

Prof. Dr. med. Reinhard Busse, MPH FFPH
Technische Universität Berlin
Fachgebiet Management im Gesundheitswesen
Straße des 17. Juni 135
10623 Berlin

Sigrid Droste†

Dr. jur. Karsten Engelke
GKV-Spitzenverband
Justizariat
Reinhardtstraße 28
10117 Berlin

Katja Felgenträger
Gemeinsamer Bundesausschuss
Abteilung Fachberatung Medizin
Gutenbergstraße 13
10587 Berlin

Dr. PH Sabine Fuchs, MScPH
Gemeinsamer Bundesausschuss
Abteilung Fachberatung Medizin
Gutenbergstraße 13
10587 Berlin

Prof. Dr. med. Ansgar Gerhardus, MA, MPH
Universität Bremen
Institut für Public Health und Pflegeforschung
Abteilung für Versorgungsforschung
Grazer Straße 4
28359 Bremen

Dr. med. Bernhard Gibis, MPH
Kassenärztliche Bundesvereinigung
Dezernat 4 (Ärztliche Leistungen und
Versorgungsstruktur)
Herbert-Lewin-Platz 2
10623 Berlin

Dr. med. Robert Großelfinger, MSc
Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im
Gesundheitswesen (IQWiG)
Stabsbereich Qualitätssicherung
Im Mediapark 8
50670 Köln

Dr. med. Dagmar Lühmann
Universitätsklinikum Hamburg-Eppendorf
Institut für Allgemeinmedizin
Martinistraße 52
20246 Hamburg

Prof. Dr. med. Katja Matthias
Hochschule Stralsund
Zur Schwedenschanze 15
18435 Stralsund

Dr. phil. Marcel Mertz, MA
Medizinische Hochschule Hannover
Institut für Ethik, Geschichte und Philosophie der
Medizin
Carl-Neuberg-Straße 1
30625 Hannover

Dr. rer. medic. Marc Nocon, MSc
Gemeinsamer Bundesausschuss
Abteilung Fachberatung Medizin
Gutenbergstraße 13
10587 Berlin

PD Dr. med. Matthias Perleth, MPH
Gemeinsamer Bundesausschuss
Abteilung Fachberatung Medizin
Gutenbergstraße 13
10587 Berlin

Dr. med. Alric Rüter
Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im
Gesundheitswesen (IQWiG)
Ressort Versorgungsqualität
Im Mediapark 8
50670 Köln

Dr. PH Anne Kathrin Stich, MPH
GKV-Spitzenverband
Abteilung Medizin
Reinhardtstraße 28
10117 Berlin

Dr. med. Marcial Velasco Garrido, MPH
Universitätsklinikum Hamburg-Eppendorf
Zentralinstitut für Arbeitsmedizin und Maritime
Medizin
Seewartenstraße 10
20459 Hamburg

Die Autorinnen und Autoren

Dr. phil. Stephanie Vollenweider
Eidgenössisches Departement des Innern EDI
Bundesamt für Gesundheit BAG
Direktionsbereich Kranken- und Unfallversicherung
Schwarzenburgstrasse 157
Sektion HTA
3003 Bern
Schweiz

Dr. sportwiss. Siw Waffenschmidt
Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im
Gesundheitswesen (IQWiG)
Ressort Informationsmanagement
Im Mediapark 8
50670 Köln

PD Dr. phil. Claudia Wild
HTA Austria – Austrian Institute for Health
Technology Assessment GmbH
Garnisongasse 7/20
1090 Wien
Österreich

Dr. rer. soc. oec. Ingrid Zechmeister-Koss, MA
HTA Austria – Austrian Institute for Health
Technology Assessment GmbH
Garnisongasse 7/20
1090 Wien
Österreich

Inhalt

1 Grundlagen und Prinzipien von Health Technology Assessment (HTA) _____	1
<i>Dagmar Lüthmann, Alric Rüter und Matthias Perleth</i>	
1.1 Entscheidungsbedarf im Gesundheitssystem durch medizinische Innovationen _____	2
1.2 Grundbegriffe von HTA _____	8
1.3 Bezüge zu angrenzenden Gebieten _____	10
1.4 Geschichte von HTA _____	22
1.5 Beschreibung des Status von Technologien _____	28
1.6 Priorisierung von HTA-Themen _____	37
1.7 HTA-Ausbildung _____	42
1.8 Gegenwärtige Tendenzen, Limitationen, Herausforderungen _____	47
2 HTA und Entscheidungsfindung: Regulation von Technologien _____	49
<i>Bernhard Gibis, Robert Großelfinger, Matthias Perleth, Stephanie Vollenweider, Claudia Wild, Ingrid Zechmeister-Koss</i>	
2.1 Einleitung _____	49
2.2 Die gesetzliche Marktzulassung _____	56
2.3 Erstattungsfähigkeit/Preisbildung _____	65
2.4 HTA in der Schweiz _____	75
<i>Stephanie Vollenweider</i>	
2.5 HTA in Österreich _____	82
<i>Claudia Wild und Ingrid Zechmeister-Koss</i>	
2.6 Interessensvertretung und Lobbyismus _____	91
2.7 Feststellung des Unabhängigkeitsstatus für HTA-Einrichtungen _____	99
<i>Robert Großelfinger</i>	
3 Entwicklung von HTA in Europa und international _____	105
<i>Sabine Fuchs, Antje Behring, Alric Rüter und Matthias Perleth</i>	
3.1 Europäische Entwicklung _____	105
3.2 Internationalisierung und Vernetzung _____	116
4 Vorgehensweise und Methodenspektrum in der HTA-Berichterstellung _____	121
<i>Sabine Fuchs, Matthias Perleth und Marcial Velasco Garrido</i>	
4.1 Einführung _____	121
4.2 Allgemeiner Prozess der HTA-Erstellung _____	122
4.3 HTA-Erstellung Schritt für Schritt _____	122
4.4 Qualität von HTA-Berichten _____	142
4.5 Formen von HTA _____	145

5	Methoden des Information Retrievals zur systematischen Literaturanalyse	147
	<i>Katja Felgenträger und Siw Waffenschmidt</i>	
5.1	Einführung	147
5.2	Information Retrieval	147
5.3	Rolle des Information Specialist	148
5.4	Methoden	152
5.5	Ressourcen	157
5.6	Unpublizierte Literatur	161
5.7	Weitere Suchquellen und Suchtechniken	162
5.8	Prozess	165
5.9	Dokumentation	169
6	Ermittlung von Wirksamkeit, Nutzen und Sicherheit einer Technologie	175
	<i>Matthias Perleth, Katja Matthias und Marc Nocon</i>	
6.1	Einführung	175
6.2	Ermittlung der Wirksamkeit	185
6.3	Evaluation von Sicherheit, Risiko und der unerwünschten Wirkungen	204
6.4	Generalisierbarkeit von Studienergebnissen	211
6.5	Ableitung von Schlussfolgerungen/Empfehlungsstärke	213
7	Bewertung der organisatorischen, rechtlichen, ethischen und sozio-kulturellen Aspekte von Technologien	217
	<i>Ansgar Gerhardus, Sigrid Droste†, Karsten Engelke, Bernhard Gibis, Dagmar Lühmann, Marcel Mertz, Matthias Perleth, Anne Kathrin Stich und Marcial Velasco Garrido</i>	
7.1	Einführung	217
7.2	Organisationsstrukturen und Qualität	218
7.3	Bewertung der rechtlichen Aspekte von Technologien	230
	<i>Karsten Engelke und Sigrid Droste†</i>	
7.4	Ethische Aspekte im HTA	246
	<i>Marcel Mertz</i>	
7.5	Die Bewertung sozio-kultureller Aspekte im HTA	263
8	Bewertung der ökonomischen Implikationen von Technologien	271
	<i>Reinhard Busse</i>	
8.1	Einführung	271
8.2	Grundprinzipien der gesundheitsökonomischen Bewertung von Technologien in der HTA-Erstellung	275
8.3	Arten und Einsatz von gesundheitsökonomischen Evaluationen	277
8.4	Studienergebnisse versus Routinedaten: Woher kommen die Daten?	279
8.5	Überlegungen zur Literaturrecherche	280
8.6	Beurteilung gesundheitsökonomischer Studien	281
8.7	Die Wahl der Alternativen	285

Inhalt

8.8	Was sind Kosten und wie werden sie ermittelt? _____	286
8.9	Was ist die Effektivität bzw. Nutzen bei Kosten-Effektivität bzw. Kosten-Nutzen? ____	291
8.10	Weitere methodische Überlegungen: Subgruppenanalysen, Diskontierung, Sensitivitätsanalysen _____	292
8.11	Modellierungen und Entscheidungsanalysen _____	294
8.12	Interpretation des Kosten-Effektivitäts-Vergleichs _____	296
8.13	Verallgemeinerbarkeit und Übertragbarkeit von Kosten-Effektivitäts-Evaluationen _____	299
9	Die Effekte von HTA-Berichten im Gesundheitssystem _____	301
	<i>Ansgar Gerhardus und Matthias Perleth</i>	
9.1	Einführung _____	301
9.2	Aspekte der Dissemination der Ergebnisse von HTA-Berichten _____	302
9.3	Welchen Einfluss kann HTA ausüben? _____	304
9.4	Kann man die Effekte von HTA-Berichten erfassen? _____	305
9.5	Hatten HTA-Berichte Einfluss? _____	307
9.6	Wie lässt sich der Einfluss von HTA-Berichten steuern? _____	310
	Literatur _____	311
	Abkürzungsverzeichnis _____	332
	Sachwortverzeichnis _____	335

1 Grundlagen und Prinzipien von Health Technology Assessment (HTA)

Dagmar Lüthmann, Alric Rüther und Matthias Perleth

Das erste Kapitel soll Ihnen einen ersten Einblick in das Thema HTA verschaffen. Der Text beginnt mit einer Darstellung der Herausforderungen, die medizinische Innovationen für ein Gesundheitssystem bedeuten und welche Rolle HTA in diesem Kontext spielen kann. Es folgen Einführungen in die Grundbegriffe von HTA, die Darstellung von Bezügen von HTA zu angrenzenden Forschungsgebieten sowie die historische Entwicklung von HTA. Weiter gibt das Kapitel eine Einführung zur Beschreibung des Entwicklungsstandes von Technologien – diese bildet häufig die Grundlage einer Technologiebewertung. Das Kapitel schließt mit der Vorstellung von Ausbildungsmöglichkeiten im Bereich HTA und mit einem Ausblick auf die zu erwartende Entwicklung der Disziplin.

Nach Lektüre des ersten Kapitels können Sie:

- medizinische Innovationen und ihre potenziellen Auswirkungen für Patientinnen und Patienten und das Gesundheitssystem charakterisieren,
- Versorgungsbereiche mit hohem Innovationspotenzial benennen,
- die Rolle von HTA als Instrument zur Entscheidungsunterstützung beschreiben,
- Dimensionen und zentrale Methoden für HTA benennen,
- die Bezüge von HTA zur Evidenzbasierten Medizin, Leitlinienerstellung und Versorgungsforschung erläutern,
- einen kurzen Überblick über die Entwicklung von HTA in den USA, Europa und Deutschland geben,
- wichtige deutschsprachige HTA-Institutionen und Organisationen benennen,

1 Grundlagen und Prinzipien von Health Technology Assessment (HTA)

- den Status von Technologien unter Zuhilfenahme bekannter Diffusionsmodelle und Datenquellen beschreiben,
- Möglichkeiten zur HTA-Ausbildung in Deutschland und im Ausland benennen und
- wichtige Entwicklungstendenzen von HTA in Deutschland aufzeigen.

1.1 Entscheidungsbedarf im Gesundheitssystem durch medizinische Innovationen

Neue medizinische Technologien, oft als „medizinischer Fortschritt“ apostrophiert, stellen für unser Gesundheitswesen eine enorme Herausforderung dar. Es gibt kaum einen Tag, an dem in der Presse nicht von einem „Durchbruch“ bei der Therapie von zum Beispiel Krebs berichtet wird. Als Ergebnis von Forschung und Entwicklung entstehen kontinuierlich eine Vielzahl an Innovationen, die das Potenzial haben, die Gesundheit von Patientinnen und Patienten und der Bevölkerung zu verbessern.

Nur durch den Einsatz von Innovationen kann der medizinische Fortschritt sichergestellt werden. Die Innovationsmedaille hat aber neben dem potenziellen Nutzen auch eine zweite Seite: Es müssen ebenso mögliche Schäden und Risiken sowie der Einfluss auf den Ressourcenverbrauch im Gesundheitssystem berücksichtigt werden. Eine medizinische Innovation an sich stellt somit keinen Wert dar, der allein schon aufgrund der Tatsache, dass etwas „neu“ ist, auch tatsächlich Vorteile oder Verbesserungen für die Patientenversorgung bringen muss. Manche Heilsversprechen von neuen Technologien erweisen sich als verfrüht. Innovationen sind offenbar so wirkungsvoll mit positiven Konnotationen verknüpft, dass eine zunächst unkritische Rezeption überwiegt und möglicherweise ungerechtfertigte Erwartungen geweckt werden [Deyo u. Patrick 2005]. Am Ende erweisen sich die Erwartungen dann oft als unerfüllbar, dennoch wird die Krankenversicherung belastet und Patientinnen und Patienten erleiden möglicherweise gesundheitliche Schäden. Es gibt zahlreiche Beispiele dafür (s. Infobox) und die Rahmenbedingungen im deutschen Gesundheitswesen begünstigen solche Entwicklungen noch (s. Kap. 2).

Infobox:

Beispiele für Innovationen, die sich als unwirksam oder schädlich erwiesen haben (eigene Zusammenstellung nach Deyo u. Patrick 2005)

Arzneimittel:

- Encainid, Flecainid bei Herzrhythmusstörungen
- Rofecoxib, Valdecoxib bei rheumatischen Erkrankungen
- Gatifloxacin u.a. zur Behandlung von Pneumonien
- Thalidomid bei Schlafstörungen (Contergan®-Affäre 1962)

Medizinprodukte:

- Bjork-Shiley-Herzklappe
- Swan-Ganz-Pulmonalarterienkatheter bei Patientinnen und Patienten auf Intensivstationen
- endovaskuläre Stent-Grafts bei abdominalem Aortenaneurysma

1.1 Entscheidungsbedarf im Gesundheitssystem durch medizinische Innovationen

Prozeduren:

- Ligatur der Arteria mammaria interna bei koronarer Herzkrankheit
- radikale Mastektomie bei Brustkrebs
- „Robodoc“ bei Hüft-Totalendoprothesen
- „Essure“-Katheter zur Sterilisation

Manche neuen Technologien stellen nur marginal bessere Optionen dar, die ungleich teurer sind als bisherige Standardmaßnahmen. Ein viel zitiertes Beispiel sind Arzneimittel zur Blutdrucksenkung. In früheren klinischen Studien wurde die Wirksamkeit von Thiaziddiuretika und β -Blockern für die Blutdrucksenkung gezeigt. Seitdem wurden ACE-Hemmer, Kalziumkanalblocker und Alpha-Rezeptoren-Blocker eingeführt, die ihre Wirksamkeit zur Blutdrucksenkung in zumeist placebokontrollierten Studien gezeigt haben. Gegenüber den älteren Thiaziddiuretika und β -Blockern sind diese jedoch deutlich teurer. In der ALLHAT-Studie wurden direkte Vergleiche der neueren blutdrucksenkenden Medikamente gegen das preiswerte Thiaziddiuretikum Chlorthalidon durchgeführt, letztlich zeigte sich keine Überlegenheit der neueren und teureren Blutdrucksenker, teilweise fanden sich aber erhöhte Komplikationsraten (s. Infobox).

Infobox:

Beispiel für marginal bessere Arzneimittelinnovationen: Ergebnisse der ALLHAT-Studie

In einer randomisierten kontrollierten Studie wurden die Blutdrucksenker Amlodipin (Kalziumkanalblocker), Lisinopril (ACE-Hemmer) und Doxazosin (Alphakanalblocker) gegen das Thiaziddiuretikum Chlorthalidon über einen Zeitraum von 4–8 Jahren getestet. Es sollte ermittelt werden, welches Medikament den tödlichen Verlauf einer koronaren Herzkrankheit (KHK) oder einen Herzinfarkt am wirksamsten verhindern kann. Der Arm der Studie, der Doxazosin mit Chlorthalidon verglich, musste vorzeitig abgebrochen werden, weil die Ergebnisse von Doxazosin dramatisch schlechter waren als für das Chlorthalidon. Es zeigte sich, dass Chlorthalidon ebenso wirksam war, wie der Vertreter der ACE-Hemmer bzw. Kalziumkanalblocker. Allerdings war die Komplikationsrate in der Chlorthalidongruppe niedriger als in den anderen Behandlungsgruppen [The ALLHAT Officers and Coordinators for the ALLHAT Collaborative Research Group 2002]. Legt man die Arzneiverordnungsdaten für Deutschland zugrunde, dann lässt sich ein Einsparpotenzial im dreistelligen Millionenbereich errechnen; Thiaziddiuretika stellten 2002 einen Anteil von 15% an allen Diuretikaverordnungen.

1 Grundlagen und Prinzipien von Health Technology Assessment (HTA)

1.1.1 Innovative Bereiche

Die Anzahl echter oder vermeintlicher Innovationen in der Medizin ist ebenfalls hoch, gemessen an den Marktzulassungen. Allein im Jahr 2021 wurden in Europa 54 neue Arzneimittel von der europäischen Arzneimittelagentur EMA zugelassen und 92 Indikationen für bereits zugelassenen Arzneimittel erweitert [www.ema.europa.eu]; von der amerikanischen Zulassungsbehörde FDA wurden allein im Dezember 2022 213 neue oder modifizierte Medizinprodukte (inklusive Neuentwicklungen) autorisiert [www.fda.gov].

Eine besondere Innovationsdynamik in der Medizin weisen derzeit z.B. die folgenden Bereiche auf:

- bildgebende diagnostische Verfahren (Computertomographie, [funktionelle] Kernspintomographie, Positronen-Emissions-Tomographie), inklusive dreidimensionaler Bildverarbeitung, künstliche Intelligenz bei der Auswertung diagnostischer Tests, Einsatz von Stoffwechselmarkern, Fusionsbildern, Realzeit-Funktionsaufnahmen
- therapeutische Verfahren in der Onkologie (Immuntherapie [z.B. CAR-T-Zellen], tumoragnostische Arzneimittel, Bestrahlungsverfahren wie Seed-Implantation oder Protonentherapie, Genterapien, Stammzelltransplantation)
- Robotik und Navigation in der Chirurgie (präoperative Planung, Erhöhung der Präzision von Eingriffen, synchronisierte Instrumentenbewegungen, Telechirurgie)
- Gendiagnostik, Pharmakogenetik, Risikoexpressionsprofile
- Telemedizinanwendungen, digitale Applikationen
- Zell- und Gewebetherapie mit Stammzellen, *Tissue Engineering* (Gewebezüchtung)

1.1.2 HTA als Unterstützung bei Entscheidungen im Gesundheitssystem

Welche medizinischen Verfahren sollen bei begrenzten Ressourcen des Gesundheitswesens finanziert bzw. gefördert und angewandt werden und worauf kann eine Entscheidung begründet werden? Wie lassen sich echte von scheinbaren Innovationen abgrenzen? Dies sind Fragen, denen sich Entscheidungsträgerinnen und -träger auf allen Ebenen des Gesundheitswesens stellen müssen.

Dabei ist es bei der rasanten Zunahme an medizinischen Technologien und dem Anstieg des neuen Wissens aus der Grundlagen- und angewandten Forschung selbst Spezialistinnen und Spezialisten unmöglich, sich umfassend informiert zu halten und medizinische Verfahren kritisch zu bewerten. Entscheidungsträgerinnen und -träger brauchen also vollständige und in ihrer Qualität bewertete Informationen über die möglichen Konsequenzen der Anwendung einer medizinischen Technologie, sei sie eine Innovation oder ein bereits etabliertes Verfahren. Diese Funktion, d.h. die Unterstützung von Entscheidungen auf Basis wissenschaftlicher Erkenntnis, erfüllt Health Technology Assessment (Bewertung von Technologien im Gesundheitswesen). „[...] *The goal of HTA is to provide input to decision making in policy and practice*“ [Henshall et al. 1997].



Definition von HTA

HTA wird folgendermaßen definiert, wobei vier Begleitmerkmale wichtige klärende Informationen enthalten [Perleth u. Willd 2020]:

HTA ist ein multidisziplinärer Prozess, der mit expliziten Methoden den Wert einer Gesundheitstechnologie zu verschiedenen Zeitpunkten in ihrem Lebenszyklus bestimmt. Der Zweck besteht darin, die Entscheidungsfindung zu informieren, um ein gerechtes, effizientes und qualitativ hochwertiges Gesundheitssystem zu fördern.

Anmerkung 1: *Eine Gesundheitstechnologie ist eine Intervention, die zur Prävention, Diagnose oder Behandlung von Krankheiten, zur Gesundheitsförderung, zur Rehabilitation oder zur Organisation der Leistungserbringung entwickelt wurde. Bei der Intervention kann es sich um einen diagnostischen Test, ein Medizinprodukt, ein Arzneimittel, einen Impfstoff, ein medizinisches Verfahren, ein Programm oder ein System handeln (Definition von „Gesundheitstechnologie“ aus dem HTA-Glossar: <http://htaglossary.net/>).*

Anmerkung 2: *Das Verfahren ist formal, systematisch und transparent und verwendet Methoden gemäß dem aktuellen wissenschaftlichen Standard, um die beste verfügbare Evidenz zu berücksichtigen.*

Anmerkung 3: *Die Wertedimensionen einer Gesundheitstechnologie können durch die Einschätzung der beabsichtigten und unbeabsichtigten Folgen des Einsatzes einer Gesundheitstechnologie im Vergleich zu bestehenden Alternativen untersucht werden. Zu diesen Dimensionen gehören häufig klinische Wirksamkeit, Sicherheit, Kosten und ökonomische Implikationen, ethische, soziale, kulturelle und rechtliche Fragen, sowie organisatorische und umweltbezogene Aspekte und weiterreichende Auswirkungen auf Patientinnen und Patienten, Angehörige, Pflegefachkräfte und die Bevölkerung. Die Gesamteinschätzung zum Wert kann von der eingenommenen Perspektive, den beteiligten Interessengruppen und dem Kontext der Entscheidungsfindung abhängen.*

Anmerkung 4: *HTA kann zu verschiedenen Zeitpunkten im Lebenszyklus einer Gesundheitstechnologie angewendet werden, d.h. vor der Markteinführung, während der Marktzulassung, nach der Markteinführung bis hin zur Desinvestition einer Gesundheitstechnologie.*

HTA wird auch als Brücke zwischen Wissenschaft und Gesundheitspolitik verstanden, da es wissenschaftliche Ergebnisse für Entscheidungen aufbereitet. HTA versteht sich als ein Ansatz, der in Abgrenzung zur evidenzbasierten Medizin und Leitlinienentwicklung vorrangig auf politische Entscheidungen der Makroebene des Ge-

1 Grundlagen und Prinzipien von Health Technology Assessment (HTA)

sundheitssysteme gerichtet ist (z.B. Entscheidungen zur Aufnahme oder den Ausschluss eines Verfahrens in/aus dem Leistungskatalog, s. Kap. 2).

Der Begriff „Technologie“ ist bei HTA sehr umfassend zu verstehen und schließt Medizinprodukte, medizinische Prozeduren und Arzneimittelanwendungen ebenso ein wie z.B. ganze Versorgungssysteme (z.B. Intensivstationen) und -programme (z.B. Disease Management Programme).

HTA hat das Ziel, medizinische Technologien umfassend zu betrachten und Analysen zu unterschiedlichen Aspekten ihrer Anwendung vorzunehmen. Der elementarste Bestandteil von HTA besteht darin, den Nutzen (Wirksamkeit und Sicherheit, s. Kap. 6) und die Kosten bzw. Kosten-Effektivität (s. Kap. 8) einer Technologie zu bestimmen und somit zu einer wirtschaftlichen Verwendung von Ressourcen im Gesundheitswesen beizutragen. Weitere Aspekte sind die ethischen und sozialen Auswirkungen von Technologien, organisatorische und rechtliche Implikationen ihrer Anwendung (s. Kap. 7) sowie Faktoren, die die Diffusion (Ausbreitung) medizinischer Technologien hemmen oder beschleunigen und Variationen in der Nutzung von Technologien begründen, sowie die Sicherstellung einer qualitativ hochwertigen Erbringung (s. Kap. 1.5.3).

1.1.3 Intention von HTA

In diesem umfassenden Kontext definiert sich HTA nicht durch eine einheitliche Methodik, sondern durch seine Intention als Instrument zur Entscheidungsunterstützung von Managemententscheidungen im Gesundheitssystem. So kann die Überprüfung der technischen Eigenschaften eines Arzneimittels oder eines Medizinproduktes als Bestandteil einer Regulationsentscheidung als HTA bezeichnet werden. Ebenso kann eine ethische Analyse von gendiagnostischen Testverfahren, die einer Kostenübernahmeentscheidung vorausgeht als HTA charakterisiert werden. Die Analyse von Sicherheit, organisatorischen Implikationen oder Investitionskosten bei der Anschaffung eines Großgeräts in einem Krankenhaus ist ebenfalls HTA. Im Gegensatz dazu wird klinische Forschung, die aus Erkenntnisgründen, aber nicht zur Information von Entscheidungen durchgeführt wird, nicht als HTA bezeichnet. Klinische Studien, die jedoch die Überlegenheit oder Gleichwertigkeit bzw. Sicherheit einer Innovation gegenüber dem etablierten Standard demonstrieren sollen, können sehr wohl Bestandteil eines HTA sein; das hat im britischen NHS eine längere Tradition und ist auch in Deutschland zunehmend der Fall.

1.1.4 Komponenten und Methodenspektrum

Ungeachtet dieser politischen Zielsetzung muss HTA auf wissenschaftlicher Grundlage durchgeführt werden bzw. sich wissenschaftlicher Methoden bedienen. Der Prozess der Technologiebewertung muss integer durchgeführt werden und die Ergebnisse müssen glaubwürdig und nachvollziehbar sein. Die häufigste Aktivität von HTA ist die systematische Recherche und Zusammenstellung der verfügbaren Informationen zu einer medizinischen Technologie, insbesondere zur Wirksamkeit und Kosten-Wirksamkeit zur Unterstützung verschiedener Entscheidungen.

Trotz dieses umfassenden Spektrums ist HTA keine eigenständige Disziplin. Tatsächlich handelt es sich um einen systematischen, interdisziplinären Prozess, der auf

1.1 Entscheidungsbedarf im Gesundheitssystem durch medizinische Innovationen

wissenschaftlicher Evidenz und anderen Informationen beruht. HTA involviert Kliniker:innen, Ökonom:innen, Sozialwissenschaftler:innen, Naturwissenschaftler:innen aus den Bereichen Public Health und Versorgungsforschung, Ingenieur:innen und Ethiker:innen. Außerdem sind zunehmend Patientinnen und Patienten, die Öffentlichkeit bzw. ihre Repräsentantinnen und Repräsentanten in HTA einbezogen [Henshall et al. 1997].

Dem breiten und interdisziplinären Ansatz entsprechend, werden je nach Fragestellung unterschiedliche Facetten einer Technologie untersucht. Ein Überblick über die Komponenten und häufig angewandte Methoden findet sich in Tabelle 1.

Tab. 1 Komponenten und Methodenspektrum von HTA [Quelle: eigene Zusammenstellung]

Baustein des HTA	Bedeutung	Methoden
Statusbestimmung hinsichtlich: Regulation/Zulassung Kostenerstattung Diffusion und Nutzungshäufigkeit	Überblick über den gegenwärtigen Status einer Technologie hinsichtlich rechtlicher und versorgungspraktischer Aspekte, auch international vergleichend	Analyse von Dokumenten und Verordnungen; Umfragen bei zuständigen Organisationen (auch in anderen Ländern)
Bewertung des klinischen Nutzens bzw. des Nutzens für Patientinnen und Patienten	systematische Darstellung der Effekte von Technologien auf den Gesundheitszustand und die Lebensqualität sowie der unerwünschten Nebeneffekte	systematische Übersichten und Metaanalysen diagnostischer und therapeutischer Technologien; Durchführung von klinischen Studien
Bewertung der Wirtschaftlichkeit: nicht-vergleichend vergleichend	Analyse der ökonomischen Effekte von medizinischen Technologien, inklusive Ermittlung der vergleichenden Effizienz und der Lebensqualität	systematische Übersichten und Entscheidungsanalysen gesundheitsökonomischer Studien, Durchführung von gesundheitsökonomischen Primärstudien
innovationsbezogenes HTA/ Innovationsmanagement	begleitende Evaluation von Technologien in der Entwicklungsphase vor Markteinführung	epidemiologische und ökonomische Analysen, Surveys, Modellierungen
Implikationen für die Organisation	Einschätzung des Einflusses der Einführung und Anwendung von Technologien auf die Organisation der Gesundheitsversorgung	Analyse struktureller und organisatorischer Rahmenbedingungen und Abschätzung der Einflüsse der Technologie auf Finanz- und Patientenströme
soziale, gesellschaftliche, psychologische und ethische Implikationen	Analyse der mit der Nutzung einer Technologie einhergehenden ethischen und sozialen Probleme	qualitative Studien auf der Basis von Literaturrecherchen und Umfragen, Interviews; Auswertung von Dokumenten

1.2 Grundbegriffe von HTA

1.2.1 Grundbegriff Technologie

Das Wort Technologie ist zusammengesetzt aus den griechischen Wörtern *téchne* = Handwerk, Kunst, Fertigkeit, Wissenschaft und *logos* = Wort, Rede, und bezeichnet die Herstellungs- bzw. Verarbeitungs-Lehre, d.h. die Gesamtheit der Verfahren zur Produktion von Waren und Dienstleistungen, die einer Gesellschaft zur Verfügung steht. Der englische Begriff *technology* hat eine breitere Bedeutung und kann sich u. a. auf Technik, Geräte, Werkzeuge, Computerprogramme, Systeme oder Verfahren beziehen. Im Deutschen werden die Begriffe Technikfolgenabschätzung (außerhalb der Medizin) und Technologiebewertung (in der Medizin) häufig synonym benutzt.

1.2.2 Grundbegriff Innovation

Der Begriff Innovation geht auf das lateinische Wort *innovatio* zurück und bedeutet so viel wie Einführung einer Neuerung. Meist wird er auf technische Neuerungen bezogen, kann aber auch auf soziale, organisatorische oder medizinische Neuerungen angewandt werden. Produktinnovationen sind von Prozessinnovationen zu unterscheiden (s. Kap. 2.2).

1.2.3 Grundbegriff: Medizinische Technologiebewertung (= Health Technology Assessment)

Der Begriff „*technology assessment*“ wurde zuerst im US Congress ab 1965 benutzt. Damit waren keineswegs in erster Linie medizinische Technologien gemeint, sondern alle Bereiche des gesellschaftlichen Lebens, z.B. Transportwesen und Verkehr, Energie, Ernährung, Rüstung sowie Raumfahrt. Im Zuge von Gesetzesinitiativen im US Congress wurde 1972 das Office of Technology Assessment (OTA) als parlamentarische Beratungseinrichtung gegründet (s. Kap. 1.4.1).

Das ehemalige US Congress Office of Technology Assessment (OTA) definierte medizinische Technologien als ... *drugs, devices, and medical and surgical procedures used in medical care, and the organizational and supportive systems within which such care is provided* [Banta et al. 1978]. Technologie im Kontext der Medizin wird dabei definiert als die systematische Applikation wissenschaftlichen und anderen organisierten Wissens auf praktische Problemstellungen. Damit ist impliziert, dass bloß empirisch entwickelte oder tradierte Verfahren nicht von vornherein als im Sinne eines Health Technology Assessment evaluierbare medizinische Technologien zu betrachten sind [US Congress Office of Technology Assessment 1976, Banta u. Luce 1993].

1.2.4 Klassifikation medizinischer Technologien

Medizinische Technologien können nach verschiedenen Kriterien klassifiziert werden. Eine zweckorientierte Einteilung wurde vom OTA vorgenommen. Darin wird unterschieden nach Technologien für Prävention, Diagnose, Therapie, Rehabilitation, Patientensupport und Administration [Banta et al. 1978]. Eine vergleichbare Klassifikation findet sich auch im britischen HTA-Programm, in dem verschiedene *technological areas* unterschieden werden: *acute sector technologies, pharmaceuticals, diagno-*

1.2 Grundbegriffe von HTA

stics and imaging, population screening, HTA methodology, primary and community care. Bemerkenswert ist, dass HTA selbst als eine Form von Technologie aufgefasst wird, die freilich methodischen Verfeinerungen zugänglich ist (s. Infobox).

Infobox:

Eine im Ansatz sozialkritische und zugleich positivistische Definition wurde von Lewis Thomas geprägt, die vor allem in den USA Einfluss gewonnen hat [Thomas 1971]

Er unterscheidet drei Formen von medizinischen Leistungen:

Nontechnology: Hierzu gehören vor allem unterstützende medizinische und pflegerische Leistungen ohne technischen Charakter (etwa Gesprächsleistungen, Information), die in der Regel den natürlichen Verlauf einer Krankheit nicht ändern können.

Halfway technology: Maßnahmen, die zwar zur Erkennung und Besserung von Krankheiten und eventuell zur Lebensverlängerung führen, nicht aber zur Heilung (z.B. diagnostische Verfahren, lebensverlängernde Maßnahmen, symptomatische Therapie). Dies ist die teuerste Form der Medizin.

Definitive technology (high technology): Auf der Basis grundlegender wissenschaftlicher Erkenntnisse kann eine Prävention oder Heilung erreicht werden. Hierzu müssen die Prozesse, die zur Erkrankung führen (z.B. Mechanismen die zur Auslösung von Krebs führen), verstanden werden. Beispiele sind Impfungen und Gentherapien.

In der Praxis ist vor allem die Differenzierung zwischen neuen und etablierten Technologien zu beachten. Insbesondere für Belange der Regulation und Feinstuerung der Nutzungshäufigkeit und -angemessenheit kann dies relevant sein. Bei neuen Technologien kann es sich um echte Innovationen handeln, die beispielsweise ein völlig neues Wirkprinzip umsetzen (z.B. mRNA-Impfstoffe), um Modifikationen existierender Technologien (z.B. Weiterentwicklung der Computertomographie), oder um die plötzliche Änderung der Nutzungsfrequenz einer bislang nicht beachteten bzw. evaluierten Technologie (zwar nicht im streng wissenschaftlichen Sinn, aber in regulatorischer Hinsicht ist dieser Fall als „neu“ zu betrachten).

Im Kontext der Handhabung medizinischer Technologien in Deutschland bietet sich eine Einteilung entsprechend der gesetzlichen Regelungen an. Demnach können medizinische Technologien eingeteilt werden in Arzneimittel, Medizinprodukte, die von Patientinnen und Patienten direkt genutzt werden (Hilfsmittel), Medizinprodukte, die im Rahmen von medizinischen oder chirurgischen Prozeduren eingesetzt werden, ambulante und stationär durchgeführte ärztliche und nichtärztliche Prozeduren sowie Großgeräte. Bisher nur ansatzweise Bedeutung hat HTA in Deutschland bei der Bewertung und Auswahl von Management- oder Organisationsinstrumenten erlangt. Ein Beispiel hierfür ist der HTA-Bericht zur Facharztversorgung in Pflegeheimen, in welchem die Effektivität einer ganzen Organisationsstruktur betrachtet wird [Balzer 2013]. Gegenstand eines HTA-Berichts kann jedoch wie erwähnt auch z.B. die Leistungsfähigkeit von Praxis-Softwareprogrammen oder Nutzen und Risiken von Disease Management Programmen sein. Eine thematische Ausrichtung auf solche Themen ist derzeit in Deutschland noch nicht absehbar.

1.2.5 HTA-Phasen

Vereinfacht dargestellt umfasst HTA eine Reihe von Phasen, die für die jeweilige Technologie im Laufe des Bewertungsprozesses durchlaufen werden:

- Identifizierung der zu evaluierenden Technologien oder der Nutzung von Technologien, etwa unter Nutzung der Ergebnisse aus „Frühwarnsystemen“ für medizinische Innovationen (s. Kap. 1.6.3),
- Prioritätensetzung zwischen verschiedenen zur Auswahl stehenden Technologien für ein HTA (s. Kap. 1.6),
- Durchführung des HTA: Ermittlung der verfügbaren wissenschaftlichen Evidenz zu verschiedenen Aspekten wie Sicherheit, Wirksamkeit, Kosten, ethisch-soziale Implikationen (s. Kap. 4–8),
- Verbreitung (Dissemination) der Ergebnisse und Schlussfolgerungen bzw. ggf. Empfehlungen an die relevanten Entscheidungsträgerinnen und -träger oder Auftraggeberinnen und -geber (s. Kap. 9),
- Umsetzung (Implementierung) der Ergebnisse durch Vermittlung der Ergebnisse und Schlussfolgerungen in die Praxis (s. Kap. 9),
- Einschätzung des Ausmaßes der beabsichtigten Änderungen in der Entscheidungsfindung und der Praxis der Leistungserbringung sowie auf das Gesundheitswesen/den Gesundheitszustand der Bevölkerung (*impact assessment*, s. Kap. 9).

Nicht jede Phase muss bei der Bewertung einer Technologie durchlaufen werden.

1.3 Bezüge zu angrenzenden Gebieten

1.3.1 Bezüge zur Leitlinienentwicklung und zur evidenzbasierten Medizin

Evidenz (lat. *evidentia* = Augenscheinlichkeit, Klarheit) bedeutet umgangssprachlich: Augenschein, Offenkundigkeit, völlige Klarheit. „Das ist doch evident“ bedeutet somit, dass etwas nicht weiter hinterfragt werden muss. Im Kontext der evidenzbasierten Entscheidungsfindung hat der Begriff Evidenz eine völlig andere Bedeutung. Hier leitet er sich vom englischen Wort „*evidence*“ (= Aussage, Zeugnis, Beweis, Ergebnis, Unterlage, Beleg) ab und bezieht sich auf die Informationen aus wissenschaftlichen Studien und systematisch zusammengetragenen Erfahrungen, die einen Sachverhalt erhärten oder widerlegen [www.ebm-netzwerk.de/de/service-ressourcen/ebm-glossar].

Die explizit auf wissenschaftliche Evidenz gestützte Entscheidungsfindung unterstützt Entscheidungen auf verschiedenen Ebenen des Gesundheitssystems und hat in Deutschland keine lange Tradition. Erst seit Mitte der 1990er-Jahre lassen sich entsprechende Aktivitäten beobachten, die mehr oder weniger gleichzeitig einsetzen. Strömungen innerhalb dieser Kultur der evidenzbasierten Entscheidungsfindung sind die klinisch ausgerichtete evidenzbasierte Medizin EbM, die systematische Entwicklung von klinischen Praxisleitlinien und evidenzbasierten Patiententinformationen sowie Health Technology Assessment.

Die evidenzbasierte Medizin (EbM) entstand in den 1980er-Jahren in Nordamerika aus der klinischen Epidemiologie als Hilfswissenschaft zur Interpretation und An-

1.3 Bezüge zu angrenzenden Gebieten

wendung von Erkenntnissen aus wissenschaftlichen Studien für klinisch tätige Ärztinnen und Ärzte. EbM ist der bewusste, ausdrückliche und abwägende Gebrauch der jeweils besten wissenschaftlichen Evidenz für Entscheidungen in der klinischen Anwendungssituation, das heißt in der medizinischen Versorgung individueller Patientinnen und Patienten [Sackett 1996]. Diese Technik umfasst die systematische Suche nach der relevanten Evidenz in der medizinischen Literatur für ein konkretes klinisches Problem, die kritische Beurteilung der Validität der Evidenz nach klinisch epidemiologischen Gesichtspunkten; die Bewertung der Größe des beobachteten Effekts sowie die Anwendung dieser Evidenz auf den konkreten Patienten mit Hilfe der klinischen Erfahrung und der Vorstellungen der Patientinnen und Patienten [vertiefende Informationen www.ebm-netzwerk.de/de/service-ressourcen/ebm-basics/ebm-basics-uebersicht und www.cochrane.de].

Leitlinien und ihre Methodik werden, im englischsprachigen Raum beginnend, seit den 1980er-Jahren entwickelt. Leitlinien sind systematisch erstellte, wissenschaftlich begründete und praxisorientierte Entscheidungshilfen für die angemessene klinische Vorgehensweise bei spezifischen Krankheitssituationen. Durch Leitlinien soll externe wissenschaftliche Evidenz durch einen definierten, transparent gemachten Konsensprozess unter Expertinnen und Experten und Betroffenen als lokaler Standard auf der Ebene von indikationsbezogenen Patientengruppen (möglichst unter Berücksichtigung weiterer Aspekte wie Alter, Geschlecht, Komorbidität, Setting, Kosteneffektivität) vermittelt werden, von dem in begründeten Fällen abgewichen werden kann oder sogar muss (weitere Informationen <http://www.leitlinien.de>).

Evidenzbasierte Patienteninformation zielt darauf ab, medizinisches Wissen objektiv und verständlich an Patientinnen und Patienten zu vermitteln, sodass diese in die Lage versetzt werden, Behandlungsentscheidungen kompetent und selbstständig mit zu treffen (health literacy bzw. Gesundheitskompetenz). Bundesärztekammer und KBV formulieren hierzu folgende Anforderungen an Informationsmaterialien: sie sollten unabhängig, ausgewogen, realistisch, verständlich und verfügbar sein und auf dem derzeit besten verfügbaren Wissen basieren. Sie sprechen Nutzen und Schaden aller in Frage kommenden Optionen an und stellen diese an Hand von patientenrelevanten Behandlungsergebnissen dar. Risiken werden angemessen kommuniziert [www.patienten-information.de]. Qualitätskriterien von Patienteninformationen sind auch in der Initiative „Gute Praxis Gesundheitsinformation“ [www.ebm-netzwerk.de/de/medien/pdf/gpgi_2_20160721.pdf] verfügbar. Anbieter von qualitativ hochwertigen Patienteninformationen sind beispielsweise das Programm für Nationale Versorgungsleitlinien (www.versorgungsleitlinien.de/patienten) und das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (www.gesundheitsinformation.de). Mit der (Weiter-)Entwicklung von evidenzbasierten Patienteninformationen ist auch die Cochrane Collaboration (www.cochrane.de/patienteninformationen) befasst.

HTA hat die Funktion, Entscheidungen durch den systematischen Überblick über Evaluationsergebnisse von medizinischen Technologien im Gesundheitswesen zu unterstützen, ist also am Entscheidungsbedarf auf Systemebene, bzw. an Bevölkerungsgruppen orientiert.

Trotzdem gibt es Gemeinsamkeiten, die vor allem darin gründen, dass systematische Übersichtsarbeiten zumeist die Grundlage für diese Entwicklungen bilden (s. Tab. 2). Eine systematische Übersicht (*systematic review*) ist eine Sekundärforschung, bei der zu einer klar formulierten Fragestellung alle Primärstudien systematisch und nach

1 Grundlagen und Prinzipien von Health Technology Assessment (HTA)

expliziten Kriterien identifiziert, ausgewählt und kritisch bewertet und die Ergebnisse extrahiert und deskriptiv oder mit statistischen Methoden quantitativ (Meta-Analyse) zusammengefasst werden (s. Kap. 6.1.3).

Die Expertise für die Anwendung der EbM und die Entwicklung von Leitlinien wird von den klinischen Disziplinen und Fachgesellschaften übernommen. Demgegenüber wurde HTA im Bereich Sozialmedizin/Public Health unter Einbeziehung der Gesundheitsökonomie professionalisiert und akademisiert. Damit wird dem interdisziplinären Charakter einerseits, der Systembezogenheit von HTA andererseits Rechnung getragen. Die Erstellung von Patienteninformationen ist in beiden Kontexten zu finden.

Tab. 2 Unterschiede und Gemeinsamkeiten von EbM, Leitlinien und HTA [ergänzt nach Perleth et al. 2001, Schönemann et al. 2022]

	EbM	Leitlinien	Evidenzbasierte Patienteninformation	HTA	Essential Medicine/ Diagnostic List
Zielgruppe/ Anwenderinnen und Anwender	Klinikerinnen und Kliniker	Klinikerinnen und Kliniker, Managerinnen und Manager	Patientinnen und Patienten, Angehörige, Öffentlichkeit	Entscheidungsträgerinnen und -träger	Kliniker, Entscheidungsträgerinnen und -träger, WHO
Zielbevölkerung	individuelle Patientinnen und Patienten	Patientengruppen	Patientengruppen	Bevölkerung/ Bevölkerungsgruppen	Patientengruppen, Bevölkerungsgruppen
Anwendungskontext	klinische Entscheidungsfindung	Standardisierung klinischer Entscheidungsfindung zur Minimierung ungerechtfertigter Praxisvariationen	Vorbereitung informierter gemeinsamer Entscheidungen (Kliniker:innen und Patientinnen und Patient)	Kostenübernahme, Investitionen, Regulation	Kostenübernahme, Regulation, Investitionen/ Einkauf

1.3 Bezüge zu angrenzenden Gebieten

	EbM	Leitlinien	Evidenzbasierte Patienten- information	HTA	Essential Medicine/ Diagnostic List
Methoden	systematische Übersichten, Metaanalysen, Entscheidungsanalysen	systematische Übersichten, Metaanalysen, formale und nicht formale Konsensusmethoden	Synopsen systematischer Übersichten und Studien; laienverständliche Aufbereitung	systematische Übersichten, Metaanalysen, klinische Studien, ökonomische Evaluation, ethische, sozio-kulturelle, organisatorische, rechtliche Analysen	systematische Übersichten, Metaanalyse, ökonomische Evaluation
Probleme/ Schwächen	viele ungeklärte methodische Probleme, nicht unerheblicher Trainingsbedarf für Anwenderinnen und Anwender	oft fehlende Evidenz, Konsensverfahren oft nicht adäquat, Implementation schwierig	Komplexe Sachverhalte oft schwer laienverständlich auszudrücken; Auffindbarkeit, schwierige Motivation der Zielgruppe zur Nutzung	oft fehlende Evidenz, schwierige Erfassung des Impacts, oft nur Berücksichtigung von medizinischen und ökonomischen Aspekten	Patentschutz, Prioritätensetzung

1.3.2 Bezüge zur Technikfolgenabschätzung

Die Wurzeln von HTA liegen, wie bereits am Beispiel OTA verdeutlicht, in der parlamentarischen Technologiebewertung (PTA). Es ist deshalb nicht überraschend, dass sich die frühen HTA-Berichte des OTA wie PTA-Berichte aus anderen Technologiebereichen lesen. Trotz aktuell unterschiedlicher Vorgehensweisen und Zielsetzungen (s. Tab. 3) können HTA und PTA als komplementär aufgefasst werden, wenn die Entscheidungsfindung auf gesamtgesellschaftlicher Ebene betrachtet wird. PTA evaluiert im Bereich der Biotechnologie in der Regel nicht einzelne Technologien, sondern neue Entwicklungen mit möglichen gesellschaftlichen und gesetzgeberischen Implikationen, wie etwa Genome Editing, Telemedizin und Robotik in der Pflege. Im Vordergrund stehen dabei Analysen von ethischen, juristischen, sozialen und volkswirtschaftlichen Auswirkungen.

Genau in diesen Bereichen besteht ein methodisches Defizit von HTA. Während HTA in vergleichsweise anspruchsvoller Form Kosten und Nutzen von medizinischen Tech-

1 Grundlagen und Prinzipien von Health Technology Assessment (HTA)

nologien auf der Basis publizierter Daten bewertet, bestanden bisher nur ansatzweise systematisch entwickelte Methoden der Evaluation von sozialen, ethischen und juristischen Implikationen (s. Kap. 7). Der datenzentrierte Ansatz von HTA sollte allerdings nicht dazu führen, nicht oder schwer „messbare“ Sachverhalte zu vernachlässigen. (P)TA führt in der Regel Politikfeldanalysen durch. Seit einiger Zeit wird Horizon Scanning zur Identifikation von neuen Themenfeldern eingesetzt (s. Kap. 1.6.3). Sein Methodenspektrum ist eher qualitativ orientiert, bedient sich aber auch der Instrumente der empirischen Sozialforschung und Delphi-Methoden. TA untersucht Technologien hinsichtlich ihrer Implikationen und den Handlungsbedarf auf politisch-gesellschaftlicher Ebene und unterscheidet sich damit fundamental von HTA. Deshalb untersucht TA konsequenterweise die Perspektiven, Interessen und Werte von gesellschaftlichen Gruppen, während HTA, je nach Entscheidungsbedarf (Leistungserbringer, Kostenträger, Patientinnen und Patienten, Gesellschaft), unterschiedliche Perspektiven einnimmt.

HTA und PTA decken im Idealfall verschiedene Aspekte derselben Technologie ab. Dies kann am Beispiel telemedizinischer Anwendungen illustriert werden. Während HTAs die Dynamik der Diffusion, mögliche gesundheitliche Effekte, Einfluss auf die Organisation der Gesundheitsversorgung und Kosten untersuchen [Mowatt et al. 1997], widmen sich TAs beispielsweise den Implikationen der Telemedizin für die Privatsphäre von Patientinnen und Patienten, Datenschutz und Kommerzialisierung. Beide Ansätze sind notwendig, können aber zu verschiedenen Konsequenzen führen, was insbesondere dann problematisch erscheint, wenn ein HTA beispielsweise eine positive Evaluation ergibt, ein TA aber ernstzunehmende Probleme oder gar Gesetzesänderungen vorsieht (etwa wenn es um Datenschutz geht).

In den deutschsprachigen Ländern haben sich Einrichtungen der PTA seit vielen Jahren etabliert, z. B. das Büro für Technikfolgen-Abschätzung beim Deutschen Bundestag in Berlin (TAB, s. Infobox), das Institut für Technikfolgenabschätzung der Österreichischen Akademie der Wissenschaften in Wien (ITA) und die Stiftung für Technologiefolgen-Abschätzung in Bern (TA-SWISS). Diese Einrichtungen sind als Einrichtungen der Politikberatung nicht mehr wegzudenken und inspirieren auch die Aktivitäten der HTA-Einrichtungen.

Tab. 3 Komplementarität von HTA und PTA [modifiziert nach Hennen 2001]

	HTA	PTA
Kontext	Klinik, praktische Medizin Arzt/Ärztin – Patient/Patientin	Gesundheitspolitik Technologie – Gesellschaft
Bewertungsdimension	Wirksamkeit, Kosten	Werte und Interessen
Ziele	Empfehlungen für Management- und Kostenübernahmeentscheidungen, Leitlinien	Argumentationshilfe für öffentliche Diskussion, Gesetzgebung und Forschungsförderung

Infobox:**Das Büro für Technikfolgen-Abschätzung beim Deutschen Bundestag**

Das TAB wurde 1990 als Beratungseinrichtung des Bundestages eingerichtet. Die Gründungsinitiative geht auf einen Vorschlag der Enquête-Kommission „Einschätzung und Bewertung von Technikfolgen“ von 1986 zurück. Seine Aufträge erhält das TAB vom Ausschuss für Forschung, Technologie und TA des Bundestages. Seit 1991 wurden ca. 200 Berichte vorgelegt, die vor allem in die Bereiche Bio- und Gentechnik (inklusive Medizintechnik), Umwelt, Energie, Bildung, Wissenschaft- und Technikentwicklung fallen. Adressaten sind in der Regel die Fachausschüsse und Arbeitskreise der Fraktionen im Bundestag. Die Berichte werden für die Information der Ausschüsse genutzt, als Grundlage für Entscheidungen und Gesetze sowie für die Öffentlichkeits- und Pressearbeit. Eine frühere Evaluation des TAB analysierte den Verbleib und Einfluss der TAB-Berichte zwischen 1993 und 2001. Von den 78 in dieser Zeit übergebenen Berichten wurden 26 als Bundestagsdrucksache veröffentlicht, davon 12 mit einer Beschlussempfehlung. Auf dieser Basis wurden 8 inhaltliche Beschlüsse gefasst, d.h. rund 10% der Berichte hatten einen direkten Einfluss auf die Gesetzgebung.

1.3.3 Bezüge zur Versorgungsforschung

Eine Forschungsrichtung, die in ihrer Inhaltsdefinition und ihren Methoden viele Gemeinsamkeiten mit HTA aufweist ist die Versorgungsforschung.

**Definition von Versorgungsforschung**

*„Versorgungsforschung ist ein fachübergreifendes Forschungsgebiet, das ausgehend von der Patient*innen- sowie Populationsperspektive und vor dem Hintergrund komplexer Kontextbedingungen die Versorgungsstrukturen und -prozesse der Gesundheitsversorgung untersucht, den Outcome auf Ebene der Alltagsversorgung beschreibt und komplexe Interventionen zur Verbesserung der Versorgung evaluiert.“ [Pfaff et al. 2017]*

Hintergrund für den Entwurf dieses Wissenschaftszweiges war die in Deutschland z.B. durch mehrere Gutachten des Sachverständigenrats für die konzertierte Aktion im Gesundheitswesen in die Diskussion gebrachte Erkenntnis, dass Veränderung in den Systemen wissenschaftlich basierte Planung und wenn dies nicht möglich ist, dann wenigstens sorgfältige Evaluation braucht. Versorgungsforschung als neue wissenschaftliche Disziplin hat sich zum Ziel gesetzt, methodisch und inhaltlich die Verwissenschaftlichung der angestrebten Veränderungsprozesse (im Gesundheitswesen) voranzutreiben. Dabei will sie, im Gegensatz zu manchen sozialwissenschaftlichen Disziplinen nicht von außen „beforschend“ arbeiten, sondern unter Einbindung der unterschiedlichen Interessenvertreterinnen und -vertreter direkt aus dem

1 Grundlagen und Prinzipien von Health Technology Assessment (HTA)

System heraus. Dies spiegelt sich nicht nur in der Zusammensetzung von Projektteams aus Wissenschaftlerinnen und Wissenschaftlern unterschiedlicher Disziplinen, Kostenträgern und Leistungsanbietern wider, sondern auch in der Förderungslandschaft. Neben den klassischen Forschungsförderungsinstitutionen wie BMBF und DFG fördern auch Kostenträger wie die gesetzliche Rentenversicherung und die gesetzlichen und privaten Krankenversicherungen Versorgungsforschungsprojekte. Seit 2016 ist der Gemeinsame Bundesausschuss mit seinem Innovationsfonds die wichtigste Förderinstitution für die Erprobung von neuen Versorgungsmodellen („Versorgungsformen“) und Versorgungsforschungsprojekten, die einen unmittelbaren Bezug zur gesetzlichen Krankenversicherung haben.

Während in Deutschland Versorgungsforschung als Themengebiet 1995 (und 1997, 2001) vom Sachverständigenrat für die konzertierte Aktion im Gesundheitswesen zum ersten Mal thematisiert wurde, geht vor allem im englischsprachigen Ausland die Tradition der Versorgungsforschung „Health Services Research“ bereits fast 50 Jahre zurück. In den USA wurde der Begriff „Health Services Research“ bereits 1960 geprägt. Seitdem gibt es sowohl akademische als auch behördliche Institutionen, die sich der Versorgungsforschung widmen. Besonders zu nennen sind hier die Agency for Healthcare Research and Quality (AHRQ) und die AcademyHealth. Letztere zielt neben Verbesserungen der wissenschaftlichen Bedingungen (Qualifikationen, Methoden, Finanzmittel, Datenbanken) für Versorgungsforschung auch auf die gezielte Verwertung von Ergebnissen in der Gesundheitspolitik.

Auch in Großbritannien hat die Versorgungsforschung, wie in den USA, neben der biomedizinischen Grundlagenforschung und der klinischen Forschung ihren festen Stellenwert als dritte Säule der Gesundheitsforschung. Die Hauptaktivitäten begannen hier in den 1990er-Jahren, unterstützt durch staatliche (Department of Health, National Health Service [NHS], Medical Research Council [MRC]) und private (Nuffield Trust, Wellcome Trust) Fördermittel. Die universitäre Versorgungsforschung in Großbritannien vereinte sich auf Initiative des MRC zu einer Health Services Research Collaboration (HSRC), deren Ziele die Ausweitung von wissenschaftlichen Kapazitäten und die Planung von hochwertigen Forschungsprogrammen sind. Hier spielt auch die methodische Weiterentwicklung eine große Rolle. Das über Mitgliedsbeiträge finanzierte Netzwerk HSR UK (hsruk.org) stellt die Verbindung zwischen Wissenschaft und Nutzerinnen und Nutzern von Versorgungsforschung her. Seine Ziele sind neben der Vernetzung von Forscherinnen und Forschern und Anwenderinnen und Anwendern die Stärkung von wissenschaftsgestützten Entscheidungen im NHS und die Einflussnahme auf Politik und Forschungsförderern zur Stärkung der Versorgungsforschung. Zu den Aktivitäten gehören jährliche Konferenzen, Seminare und Round-Table Gespräche und Publikationen. Das Netzwerk besteht ausschließlich aus institutionellen Mitgliedern, darunter universitäre Forschungseinrichtungen, NHS-Organisationen, NIHR ARCs und Einrichtungen des dritten Sektors.

Trotz des hohen Stellenwerts der Versorgungsforschung in beiden Ländern bleibt doch das Hauptproblem, dass ihre Ergebnisse nicht die erwünschte Umsetzung im Gesundheitswesen erfahren [Pfaff u. Kaiser 2006].

In Deutschland steht die Deutsche Forschungsgemeinschaft (DFG) für die akademische Seite der Versorgungsforschung. Ihre Verankerung bei der DFG als Themengebiet an der Schnittstelle von klinischer, psychologischer, sozialwissenschaftlicher, wirtschaftswissenschaftlicher und rechtswissenschaftlicher Forschung geht auf ein Rundgespräch in 2008 und der in 2010 daraus resultierenden Stellungnahme „Ver-

1.3 Bezüge zu angrenzenden Gebieten

sorgungsforschung in Deutschland: Stand – Perspektiven – Förderung“ [Raspe et al. 2010] zurück. Prinzipiell ist die DFG Förderung themenoffen und es stehen Versorgungsforschungsvorhaben alle Förderinstrumente der DFG zur Verfügung. Die Projekte müssen allerdings erkenntnisgeleitete Fragestellungen adressieren, deren Ergebnisse auf andere Kontexte übertragbar sind. Projekte mit unmittelbarer Relevanz für einzelne Akteurinnen und Akteure des Gesundheitswesens werden von der DFG in der Regel nicht gefördert. Zur Stärkung des wissenschaftlichen Nachwuchses fördert die DFG Nachwuchsakademien, in denen junge Wissenschaftlerinnen und Wissenschaftler nach der Promotion Gelegenheit erhalten, fachwissenschaftlich zu diskutieren, sich zu vernetzen und einen ersten Drittmittelantrag vorzubereiten.

Für die anwendungsnahe Versorgungsforschung wurde 2015 mit dem GKV-Versorgungstärkungsgesetz beim Gemeinsamen Bundesausschuss ein Innovationsausschuss eingerichtet, der zur Förderung von Innovationen in der Versorgung und Versorgungsforschung auf Antrag Mittel zur Verfügung stellt. Diese Mittel (Innovationsfonds) werden dem Gesundheitsfonds entnommen und stammen somit von den gesetzlichen Krankenkassen. Von 2016–19 standen 300 Mio Euro jährlich, ab 2020 200 Mio jährlich zur Verfügung. Der Innovationsausschuss, besteht aus 3 Vertretern der gesetzlichen Krankenkassen, 3 Vertretern von Organisationen der Leistungserbringer (KBV, KZBV, DKG), je zwei Vertretern aus BMG und BMBF, 2 Patientenvertreter:innen und dem unparteiischen Vorsitzenden des G-BA. Der Ausschuss entscheidet über die Förderwürdigkeit von Projekten, nachdem diese von Expertinnen und Experten aus der Wissenschaft und Versorgungspraxis begutachtet wurden. Der Ausschuss hat weiterhin die Möglichkeit, über die thematische Fokussierung von Ausschreibungen, inhaltliche Schwerpunkte für die anwendungsnahe Versorgungsforschung in Deutschland zu setzen. Solche Schwerpunkte können beispielsweise auf besonderen Patientengruppen, innovativen Versorgungsstrukturen oder innovativen Technologien liegen. Bisher (2023) wurden 210 Projekte zu innovativen Versorgungsformen und 363 Versorgungsforschungsprojekte aus dem Innovationsfonds gefördert. Um der Herausforderung, die Forschungsergebnisse auch in die Praxis umzusetzen Rechnung zu tragen, wurde mit dem Digitale-Versorgung-Gesetz in 2019 festgelegt, dass der Innovationsausschuss spätestens drei Monate nach Vorliegen des Abschlussberichts obligat für erprobte neue Versorgungsformen und fakultativ für Versorgungsforschungsprojekte Empfehlungen auszusprechen hat, ob und unter wessen Verantwortung die neue Versorgungsform oder wirksame Teile in die Regelversorgung zu überführen sind.

Die Vernetzung von Wissenschaftlerinnen und Wissenschaftlern und Anwenderinnen und Anwendern von Versorgungsforschung in Deutschland gehört zu den Zielen des Deutschen Netzwerk Versorgungsforschung (DNVF). Zu seinen Mitgliedern gehören Fachgesellschaften, Wissenschaftliche Institute und Forschungsverbände, Patientenorganisationen, juristische Personen wie Berufsverbände, Krebsregister und Anbieter von Beratungs- oder IT-Leistungen im Gesundheitswesen und Einzelpersonen. Das Netzwerk kümmert sich um für die Versorgungsforschung relevante Forschungsmethoden, Lehre und den Praxistransfer von Forschungsergebnissen. In 19 Fachgruppen und 5 Ad-hoc-Kommissionen (Stand April 2023) werden Manuale, Curricula, Memoranden, Positionspapiere und Stellungnahmen erarbeitet. Ein weiterer Schwerpunkt liegt auf der Ausrichtung von Veranstaltungen. Einmal im Jahr findet der Deutsche Kongress für Versorgungsforschung statt, der dem Wissensaustausch und dem Diskurs zwischen Wissenschaft, Praxis und Politik gewidmet ist. In jährlich

1 Grundlagen und Prinzipien von Health Technology Assessment (HTA)

stattfindenden „Spring-Schools“ werden methodische Kompetenzen vermittelt und in den seit 2013 ebenfalls jährlich stattfindenden „Foren“ übergeordnete Themen der Gesundheitsversorgung interdisziplinär diskutiert. Zur Unterstützung der internationalen Verbreitung deutscher Versorgungsforschungsergebnisse wird das Netzwerk ab Oktober 2023 ein Online-Journal „International Journal Health Care Research“ herausgeben, welches 2 x jährlich als Extraheft der Zeitschrift „Das Gesundheitswesen“ erscheinen soll.

Themen der Versorgungsforschung

Als Forschungsgegenstände für die Versorgungsforschung formuliert die DFG-Stellungnahme: „... Beobachtung, Analyse, Prognose, Bewertung, Weiterentwicklung und Evaluation der Routineversorgung“.

Das Aufgabengebiet der Versorgungsforschung teilt sie weiter grob in sieben Grundtypen auf, wobei die Grenzen zu den Forschungsgebieten Klinische Forschung und Public Health oft fließend sind [Raspe et al. 2010]:

- **Deskription:** z.B. Krankheitshäufigkeiten, Status-Quo der Versorgung, disziplinäre und regionale Unterschiede,
- **Prognose:** z.B. Epidemiologische Entwicklungen, technischer Fortschritt der Versorgung mit zu erwartenden Auswirkungen,
- **Evaluation:** z.B. Übereinstimmung der Versorgung mit professionellen, juristischen, ethischen Standards,
- **analytisch:** z.B. personen-, kontext- und systemabhängige Determinanten von Versorgung,
- **(quasi-)experimentell:** z.B. Verbesserung der Versorgung durch Änderung von Strukturen und/oder Prozessen,
- **planend-beratend:** z.B. Entwicklung von Behandlungspfaden,
- **theoretisch:** z.B. Begriffsdefinitionen „bedarfsgerechte Versorgung“, „notwendige/nützliche“ Leistung.

Arbeiten im Bereich der Deskription zielen neben der Beantwortung konkreter versorgungsrelevanter Fragestellungen (z.B. nach der Häufigkeit eines Krankheitsbildes, nach dem Zugang zu einer Behandlungsform, nach der Angemessenheit der Versorgung, nach der Zufriedenheit der Patientinnen und Patienten) auch auf die Nutzbarmachung von validen Datenbeständen. Sowohl die Partikularisierung der Versorgung (ambulant vs. stationär; kurativ vs. rehabilitativ; allgemeinmedizinisch vs. fachärztlich usw.), unterschiedliche Kostenträgerschaften und nicht zuletzt komplexe Datenschutzbestimmungen führen dazu, dass bestehende Datenbestände sich hinsichtlich ihrer inhaltlichen Orientierung, Vollständigkeit und technischen Aufbereitung stark unterscheiden und für die Bearbeitung übergreifender Fragestellungen kaum geeignet sind. Das Memorandum II zur Versorgungsforschung in Deutschland stellt fest, dass die Datenbasis zur Bearbeitung von Fragestellungen aus den Bereichen Genderforschung, Forschung zur Versorgung älterer Menschen oder die Analyse von Fehlern und Schäden in der Medizin kaum geeignet ist. Als Voraussetzung für die Bearbeitung aussagekräftiger Versorgungsforschungsprojekte ist in diesem Bereich noch viel konzeptionelle und infrastrukturelle Grundlagenarbeit zu leisten [Schrappe et al. 2005].

1.3 Bezüge zu angrenzenden Gebieten

Die Klärung analytischer Fragen stellt angesichts der Komplexität von Versorgungsprozessen besondere Anforderungen an die Formulierung von beantwortbaren Fragestellungen, die Generierung von Hypothesen sowie an statistisch-methodische Auswertungsverfahren. Zur Komplexität tragen Einflussfaktoren aus mindestens vier Bereichen bei:

- **patienten-/klientenabhängige Faktoren:** z. B. Alter, Geschlecht, Schweregrad einer Erkrankung, Komorbidität, Präferenzen,
- **professionsabhängige Faktoren:** z. B. Ausbildung(sstand), Fähigkeiten, Lernbereitschaft,
- **organisationsabhängige Faktoren:** z. B. Flexibilität, Infrastruktur, Integrationsbereitschaft,
- **systemabhängige Faktoren:** finanzielle Ressourcen, sektorale Besonderheiten.

Die Aufgabe der Berücksichtigung multipler Einflussgrößen stellt sich dabei nicht nur bei der Analyse von Ist-Zuständen, sondern auch im Rahmen der Evaluation von komplexen Versorgungsinterventionen, da randomisierte Studiendesigns nur in den seltensten Fällen umsetzbar sind.

Die Neuentwicklung und Verbesserung von Versorgungskonzepten, die Interventionsplanung basiert sowohl auf der Grundlage der Ist-Analysen, berücksichtigt darüber hinaus aber internationale wissenschaftliche Evidenz, insbesondere in Form von systematischen Literaturübersichten, Leitlinien und HTA-Berichten.

Die wissenschaftliche Begleitung der Implementierung von geänderten oder neuen Versorgungskonzepten bildet bereits den Übergang zur Evaluation der Intervention unter Alltagsbedingungen. Formative Evaluationskonzepte erlauben während der Implementationsphase Modifikationen der Intervention zur optimalen Anpassung an kontextgebundene Bedingungen.

Die summative Evaluation schließlich soll die Antworten auf die zentrale Frage geben, wie sich die Implementation wissenschaftlich begründeter Versorgungskonzepte auf die Effektivität und die Effizienz der Gesundheitsversorgung auswirkt.

In Deutschland hat die Versorgungsforschung in den letzten Jahren auch durch die DFG eine Aufwertung erfahren: Neben der Herausgabe der oben zitierten Stellungnahme finanzierte die DFG 2010 und 2012 zwei Nachwuchsakademien zur Unterstützung von hervorragenden jungen Forschern mit Interesse an Versorgungsforschung [Scherer et al. 2012].

Methoden der Versorgungsforschung

Als multidisziplinäre Forschungsrichtung verfügt die Versorgungsforschung über kein eigenes Methodenspektrum. Die eingesetzten Methoden entstammen überwiegend der empirischen Sozialforschung, teilweise auch der klinischen Forschung. Eine wichtige Rolle spielen auch Sekundärdaten- und Literaturanalysen sowie qualitative Forschungsmethoden.

Eine besondere methodische Herausforderung für die Versorgungsforschung stellt die Notwendigkeit zur Evaluation von komplexen Programmen wie integrierten Versorgungsformen oder Disease Management Programmen dar. Von Bedeutung sind hier sowohl der Nutzen von Einzelkomponenten als auch deren Abstimmung und Kombination. Prozessabläufe, relevante Einflussfaktoren und auf unterschiedlichen

1 Grundlagen und Prinzipien von Health Technology Assessment (HTA)

Ebenen zu berücksichtigende Effekte bestimmen eine komplexe Programmstruktur, die sich in einem Evaluationskonzept widerspiegeln muss. In diesem Konzept kommt der Prozessevaluation mindestens der gleiche Stellenwert zu, wie der Ergebnisevaluation. Hinzu kommt die Notwendigkeit, Heterogenitäten in der Patientenstruktur zu berücksichtigen.

Zur summarischen Evaluation kommen im Idealfall randomisierte kontrollierte Studiendesigns zum Einsatz, die allerdings für komplexe Interventionen unter Praxisbedingungen nicht immer einfach umsetzbar sind. Häufig kommen auch quasiexperimentelle Studiendesigns zum Einsatz. Nach diesem Konzept werden die Ergebnisse natürlicher Versorgungseinheiten (z.B. Stationen, Praxispopulationen) verglichen, die sich in der unabhängigen Variable „Versorgungsangebot“ unterscheiden. Eine weitere Evaluationsform, deren Ergebnisse sowohl summarisch als auch formativ verwendet werden können, ist das Monitoring. Unter Monitoring wird die kontinuierliche Beobachtung eines Programmverlaufs mittels eines systematisch zusammengestellten Datensatzes, der regelmäßig und routinemäßig erhoben wird verstanden [Darstellung nach Morfeld u. Wirtz 2006]. Ein Mehrphasenmodell zur Integration von formativen und summarischen Evaluationselementen für komplexe Interventionen stammt aus dem britischen Medical Research Council [Craig et al. 2008].

HTA und Versorgungsforschung

Zwischen HTA und Versorgungsforschung gibt es viele Parallelen und Überschneidungen thematischer und methodischer Art.

Legt man die Gliederung eines „vollständigen“ prototypischen HTA zugrunde, werden Gemeinsamkeiten und Unterschiede schnell deutlich:

Policy Question: Ein HTA beginnt traditionell mit einer *Policy Question*, die den spezifischen Kontext für die Entscheidung aufzeigt, die durch das HTA unterstützt werden soll. Schon an dieser Stelle liegt vielleicht der deutlichste Unterschied zwischen Versorgungsforschung und HTA: HTA geht immer von einem Entscheidungsdruck aus – seine Zweckbestimmung ist die Unterstützung dieser Entscheidung. Auch wenn die Ergebnisse eines HTA nicht immer umgesetzt werden, ist die Anbindung an entscheidungstreffende Instanzen eng. Dies ist im Bereich der Versorgungsforschung eher nicht der Fall. Viele Projekte entstehen zwar vor dem Hintergrund eines von wissenschaftlicher und/oder versorgerischer Seite wahrgenommenen Informationsbedarfs, die konkrete Anbindung an eine Entscheidungssituation ist jedoch meist nicht gegeben. Dies führt beispielsweise auch in Ländern mit längerer versorgungsforschender Tradition dazu, dass Ergebnisse nicht umgesetzt werden, dass sie sogar als „*poor value for money*“ eingestuft werden [Pfaff u. Kaiser 2006].

Hintergrund: Der Hintergrund eines prototypischen HTA verlangt Informationen zur Technologie (z.B. Entwicklungsstand, Diffusion, Akzeptanz, Einsatzgebiete ...) und zu den Zielkonditionen für die Technologien (z.B. Krankheitsbilder, Verläufe, Epidemiologie, Indikationen ...). An dieser Stelle wird die Versorgungsforschung mit ihren Zugängen zur sogenannten „Versorgungsepidemiologie“ zu einer der wichtigsten Informationsquellen für HTA. In den meisten Projekten (zumindest in Deutschland) ist HTA aus Zeit- aber auch aus Ressourcengründen darauf angewiesen, auf einer Meta-Ebene zu arbeiten, d.h. Daten zusammenzuführen, die von anderer Seite erhoben wurden. Das Erheben von versorgungsrelevanten Daten ist aber genau eines der zentralen Aufgabengebiete der Versorgungsforschung.