Prof. Dr. rer. oec. Thomas Wilke
Dr. rer. oec. Katja Gehrke
Veit Anton , M.A.
Sabrina Müller

Umfrage unter pharmazeutischen Unternehmen: Umsetzung der Versorgungsforschung in Deutschland

Zusammenfassung

Die Befragungsergebnisse zeigen, dass ein noch deutlicher formaler, prozessualer und inhaltlicher Entwicklungsbedarf besteht, bis Versorgungsforschung in der Umsetzung von pharmazeutischen Unternehmen durchgehend einen hohen Stellenwert hat. Die Bedeutung der Versorgungsforschung nimmt aber aus Sicht der Unternehmen künftig dennoch weiter zu.

Schlüsselwörter

Versorgungsforschungsstudie, Versorgungsforschungsstudientypen, Real-World-Evidence, Pharmazeutische Unternehmen

Versorgungsforschung – bzw. im internationalen Sprachgebrauch mit inhaltlich vergleichbarer Bedeutung „Real World Evidence (RWE)-studies", „Health Services Research" oder auch „Health Economics Outcomes Research (HEOR)" sind wissenschaftliche Disziplinen, die die „reale Patientenversorgung" adressieren – wird seit Jahren eine steigende Bedeutung auch und gerade im Bereich pharmazeutischer Produkte prognostiziert[1]. Ähnliches kann auch für Deutschland festgestellt werden[4], sowohl, wenn man Verlautbarungen der Politik und Selbstverwaltung, Diskussionen zum aktuellen GKV-Versorgungsstärkungsgesetz als auch publizierten Positionen von Akteuren aus Ärzteschaft oder pharmazeutischer und Medizintechnikindustrie folgt [2,3].

>> Die pharmazeutische Industrie nimmt bei der Entwicklung der Versorgungsforschung national und international eine bedeutende Rolle ein. Exakte Daten zu Forschungsausgaben im Bereich der Versorgungsforschung existieren nach Kenntnis der Autoren nicht. Betrachtet man jedoch den Anteil der Ausgaben für Versorgungsforschung der Unternehmen, gemessen an den Ausgaben für klinische Forschung, entfallen schätzungsweise derzeit 5 % auf Studien zu Versorgungsforschung. Dies kann aber individuell von Unternehmen zu Unternehmen abweichen, je nachdem, welchen Stellenwert das Thema einnimmt. Bekannt ist aber, dass die pharmazeutische Industrie im Gesundheitsbereich den Großteil der gesamten Forschungsausgaben trägt. Betrachtet man die prozentualen Anteile verschiedener Bereiche an den Forschungs- und Entwicklungsausgaben insgesamt, so entfallen 47 % der Ausgaben auf die klinischen Prüfungen (ohne Phase IV), wie eine US-amerikanische Umfrage für 2013 ermittelte. Die restlichen Anteile entfallen auf die Präklinik, Zulassung, Pharmakovigilanz und sonstige Anteile.[7] Nationale und internationale Forschung sind schwer voneinander abzugrenzen. Die Gesundheitsberichterstattung des Bundes weist für 2013 ca. 3,9 Mrd. Euro[4] an Forschungsausgaben für den Gesundheitsbereich aus. Im gleichen Jahr hat die pharmazeutische Industrie in Deutschland 6,1 Mrd. Euro[5] in F&E investiert. Vermutet werden kann deshalb, dass die pharmazeutische Industrie auch im Bereich der Versorgungsforschung zunehmend ein bedeutender Akteur ist – trotz umfangreicher Versorgungsforschungsaktivitäten von Krankenkassen und avisierter erheblicher finanzieller Mittel im Kontext der erwarteten Einrichtung des Innovationsfonds beim G-BA.

Unbekannt ist jedoch, wie intensiv und methodisch einheitlich das Instrumentarium der Versorgungsforschung bislang in pharmazeutischen Unternehmen verankert ist bzw. umgesetzt wird. Ziel dieses Beitrags ist deshalb, anhand der Präsentation von Ergebnissen einer Befragung von Mitgliedsunternehmen des Bundesverbandes der Pharmazeutischen Industrie (BPI) zu verdeutlichen, wie Versorgungsforschungsstudien als Forschungsbereich in pharmazeutischen Unternehmen in Deutschland aktuell bewertet werden, wie häufig diese bislang umgesetzt wurden bzw. in Zukunft geplant werden und welche Herausforderungen aus Sicht der pharmazeutischen Industrie bestehen, derartige Studien umzusetzen.

Befragung unter pharmazeutischen Unternehmen

Der BPI ist eine Interessenvertretung von insgesamt 240 Unternehmen mit circa 70.000 Mitarbeitern auf den Gebieten der Arzneimittelforschung, -entwicklung, -zulassung, -herstellung und -vermarktung. Zu den Unternehmen gehören klassische Pharma-Unternehmen, Pharma-Dienstleister, Unternehmen aus dem Bereich der Biotechnologie, der pflanzlichen Arzneimittel und der Homöopathie/Anthroposophie.

Die Unternehmensbefragung wurde von der Arbeitsgruppe Versorgungsforschung des BPI geplant und umgesetzt, wobei folgende Themenbereiche durch die Befragung adressiert wurden:

- Definition/Verständnis von Versorgungsforschung in Unternehmen
- Bisherige Umsetzung von Versorgungsforschungsstudien: Studientypen und Häufigkeit der Umsetzung
- Herausforderungen bei der Umsetzung von Versorgungsforschungsstudien
- Geplante Umsetzung von Versorgungsforschungsstudien in der Zukunft.

Der Online-Fragebogen wurde an die Geschäftsführungen und Experten der Versorgungsforschung in den Unternehmen versandt. Insgesamt wurden 184 ordentliche Mitglieder angeschrieben. An der Befragung haben 55 Unternehmen teilgenommen. Bei vielen Antworten waren Mehrfachnennungen möglich und es bestand kein Antwortzwang.

Befragungsergebnisse

Unternehmensinterne Definition von Versorgungsforschung

Die befragten Unternehmen – respektive die Anwortenden – haben ein durchaus unterschiedliches Verständnis von Versorgungsforschung. Während retrospektive Kassen-/Abrechnungsdatenstudien (67,3%), observationale, nicht-interventionelle Studien (58,2%) und Anwendungsbeobachtungen (49,1%) sehr häufig als Versorgungsforschung angesehen werden, werden Patientenaktenstudien (34,5%), Patientensurveys (25,5%), Arztsurveys (23,6%) und pragmatische, randomisierte Trials (23,6%) nur zu einem Viertel bis Drittel als Teil

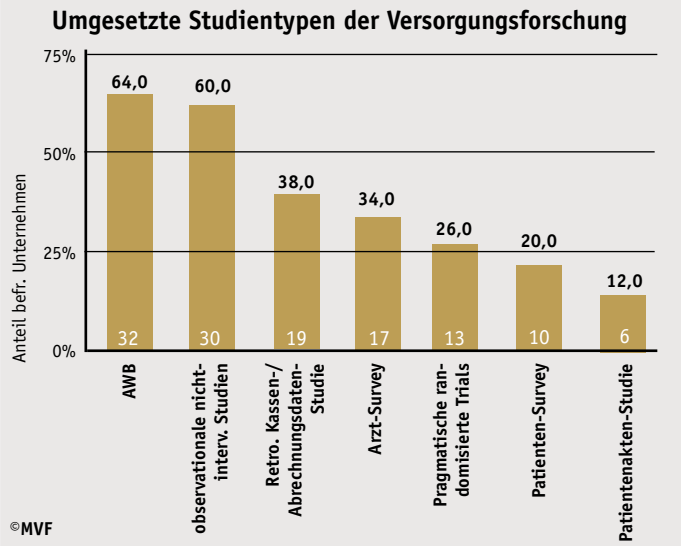


Abb. 1: Von befragten Unternehmen umgesetzte Studientypen der Versorgungsforschung. Quelle: Eigene Darstellung, n=50; 5 ohne Angabe.

der Versorgungsforschung interpretiert. Auch die Abgrenzung von Versorgungsforschung und Marktforschung innerhalb der pharmazeutischen Unternehmen ist nicht einheitlich: 79% der Befragten sehen Studienprotokolle bei Versorgungsforschungsstudien als Abgrenzungskriterium, 63% sehen allgemein den Ressourcen- und Zeitaufwand, 61% die Publikationsfähigkeit und 45% die Repräsentativität der Ergebnisse als Abgrenzungskriterium.

Bisherige, aktuelle Umsetzung von Versorgungsforschungsstudien

Im arithmetischen Mittel setzten die befragten Unternehmen in den vergangenen drei Jahren 2,7 (Median: 1,0) Versorgungsforschungsstudien um. Die am häufigsten von den befragten Unternehmen bislang durchgeführten Versorgungsforschungstypen (mindestens 1 Studie in den vergangenen 3 Jahren) waren observationale nicht-interventionelle Studien (60%) sowie Anwendungsbeobachtungen (64%); weitaus weniger häufig wurden retrospektive Kassendaten-/Abrechnungsdatenstudien (38%), Pragmatic Trials (26%), Patientensurveys (20%) oder Patientenaktenstudien (12%) durchgeführt (Abbildung 1). Aktuell setzen die Unternehmen im arithmetischen Mittel 1,5 Studien um, davon 45,6% im Kontext von Produkten vor Marktzugang, 38,5% im Kontext von Arzneimitteln nach deren Marktzugang und 15,9% im sonstigen Kontext.

Zur Differenzierung der befragten Unternehmen wurden drei Unternehmenstypen unterschieden: Unternehmen mit hoher Versorgungsforschungsintensität (>3 unterschiedliche Typen von Versorgungsforschungsstudien in den vergangenen drei Jahren; 13 Unternehmen), mit mittlerer Versorgungsforschungsintensität (2-3 unterschiedliche Typen von Versorgungsforschungsstudien in den vergangenen 3 Jahren; 20 Unternehmen) sowie mit niedriger Versorgungsforschungsintensität (maximal eine Typ einer Versorgungsforschungsstudie in vergangenen 3 Jahren; 17 Unternehmen).

Planung von Versorgungsforschungsstudien und Herausforderungen

Pharmazeutische Unternehmen planen Versorgungsforschungsstudien aus drei Gründen: als Informationsbasis im AMNOG-Nutzenbewertungsprozess (69%), als Informationsbasis für Marketing und Produktpositionierung (75%) sowie als Basis für spätere Kassengespräche (69%). 42% der Unternehmen planen aktuell Versorgungsforschungsstudien. Die Hauptgründe dafür, aktuell keine Studien zu planen, sind ein hoher finanzieller Aufwand (64%), ein zu hoher Zeitaufwand (41%) sowie der fehlende Mehrwert der Ergebnisse (27%). Die befragten Unternehmen planen künftig hauptsächlich retrospektive Kassendaten-/Abrechnungsstudien (69%), observationale nicht-interventionelle Studien (50%) sowie Patientenaktenstudien (38%). Ein Vergleich mit Abbildung 1 zeigt, dass Kassendaten-/Abrechnungsdatenstudien (+31 Prozentpunkte), Patientenaktenstudien (+26 Prozentpunkte) und Pragmatic Trials (+5 Prozentpunkte) an Bedeutung gewinnen werden, hingegen prospektive nicht-interventionelle Studien (-10 Prozentpunkte) und Anwendungsbeobachtungen (-8 Prozentpunkte) leicht an Bedeutung verlieren werden.

Abbildung 2 fasst die Angaben zur bisherigen Umsetzung von Versorgungsforschung und zur Versorgungsforschungsplanung zusammen. Sichtbar wird, dass jeweils etwa die Hälfte der befragten Unternehmen mit bisher hoher bis mittlerer Intensität im Hinblick auf die Umsetzung von Versorgungsforschungsstudien auch neue Versorgungsforschungsstudien plant. Bei Unternehmen mit bislang niedriger Versorgungsforschungsaktivität planen jedoch aktuell nur zwei Unternehmen (18,2 % der antwortenden Unternehmen) die Durchführung einer Versorgungsforschungsstudie. Als ursächlich für nicht geplante Studien werden am häufigsten zu hohe Kosten gefolgt von einem zu hohem Zeitaufwand genannt.

Interne Prozesse bei Planung und Genehmigung von Versorgungsforschungsstudien

Im Rahmen der Befragung wurde versucht, den internen Planungs- und Genehmigungsprozess von pharmazeutischen Unterneh-

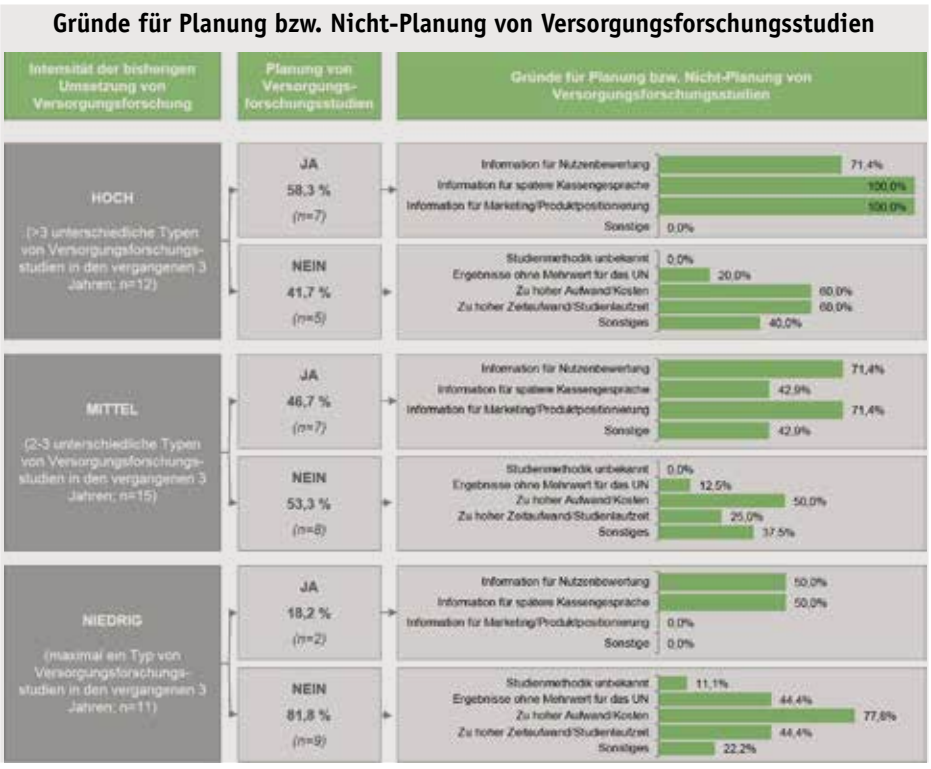


Abb. 2: Gründe für Planung/Nicht-Planung von Versorgungsforschungsstudien. Quelle: Eigene Darstellung. n=38; 17 Unternehmen konnten aufgrund fehlender Angaben nicht in die Analyse einbezogen werden.

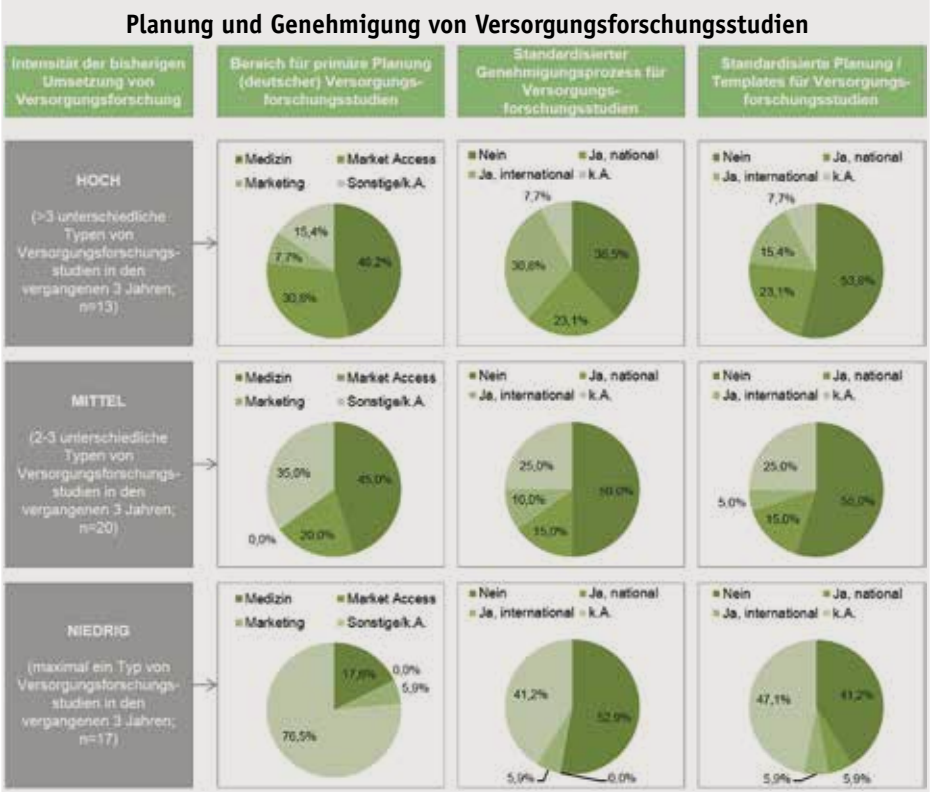


Abb. 3: Planung/Genehmigung von Versorgungsforschungsstudien. Quelle: Eigene Darstellung. n=50; 5 Unternehmen ohne Angabe.

men bei Etablierung und Umsetzung von Versorgungsforschungsstudien zu beschreiben. Erkennbar wird anhand der Befragungsdaten, dass Versorgungsforschungsstudien weitaus weniger formalisiert geplant werden als beispielsweise klinische Studien (Abb. 3). In ca. 54 % der Unternehmen mit bisher hoher Intensität an Versorgungforschungsaktivität existieren standardisierte Genehmigungsprozesse (national oder international) und in ca. 38 % ebenso standardisierte Planungsprozess/-templates für Versorgungsforschungsstudien (national oder international). Bei Unternehmen mit bislang mittlerer Intensität an Versorgungforschungsaktivität liegen diese Raten bei 25 % (standardisierte Genehmigungsprozesse) und 20 % (standardisierte Planungsprozesse); bei Unternehmen mit eher geringer Versorgungforschungsaktivität ist die Standardisierung dieser Prozesse erwartungsgemäß weniger etabliert.

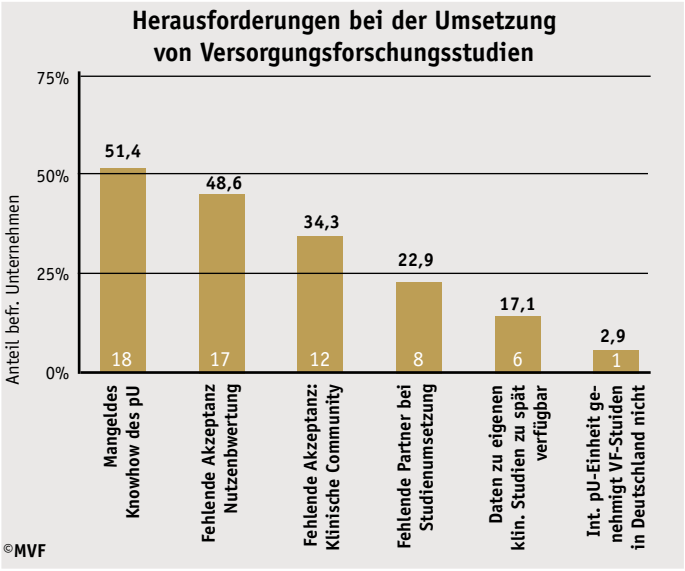


Abb. 4: Herausforderungen bei der Umsetzung von Versorgungsforschungsstudien. Quelle: Eigene Darstellung n=35; 20 Unternehmen ohne Angabe. Legende: pU = pharmazeutische Unternehmen.

Die überwiegende Mehrheit der antwortenden Unternehmen (35 von 36) gab an, dass es keinen automatisierten Beginn der Planung von Versorgungsforschungsstudien gibt, wenn ein in der Entwicklung befindliches Produkt ein spezifisches Entwicklungsstadium erreicht hat.

Nach Ansicht der Befragten sind mangelndes Know-How in der eigenen Organisation sowie fehlende Akzeptanz der Daten innerhalb des Nutzenbewertungsprozesses und der klinischen Community, aber auch fehlende Kooperationspartner bedeutende Barrieren bei der Umsetzung von Versorgungsforschungsstudien (Abb. 4).

Interpretation der Befragungsergebnisse sowie Prognose zukünftiger Entwicklungen

Die Befragungsergebnisse zeigen, dass Versorgungsforschung ein bedeutendes Thema für pharmazeutische Unternehmen darstellt. Mit den Studien ist Aufwand in finanzieller aber auch zeitlicher Hinsicht verbunden. Insbesondere besteht Unsicherheit bezogen auf die Akzeptanz der Daten, weshalb letztlich nur 42 % der Unternehmen, die geantwortet haben, in der Zukunft die Initiierung von Versorgungsforschungsstudien planen. Basierend auf den Befragungsergebnissen wird retrospektiven Kassen-/Abrechnungsdatenanalysen, Patientenaktenstudien sowie prospektiven Pragmatic Trials eine wachsende Bedeutung dieser Studientypen für die Unternehmen in den nächsten Jahren zukommen.

Überraschend an den Befragungsergebnissen sind zum einen die unterschiedliche Abgrenzung von Versorgungsforschung in den befragten Unternehmen sowie zum anderen die begrenzte Formalisierung von Planungs- und Genehmigungsprozessen im Hinblick auf Versorgungsforschungsvorhaben. Somit zeigen die Antworten, dass noch erhebliches Entwicklungspotenzial bei der Etablierung von Versorgungsforschung in pharmazeutischen Unternehmen existiert. Die Unsicherheit bezüg-

Literatur

1. Garrison LP Jr, Neumann PJ, Erickson P, Marshall D, Mullins CD. Using real-world data for coverage and payment decisions: the ISPOR Real-World Data Task Force report. Value Health. 2007;10(5),S. 326-35.
2. Nellessen-Martens G /Neugebauer EAM für den Vorstand des DNVF e.V. Qualität, Nutzen und Wirksamkeitder Versorgungsforschung - Ableitung von Konsequenzen für den Innovationsfond. Stellungnahme des Deutschen Netzwerks Versorgungsforschung (DNVF) e.V. Version: 17.09.2014
3. Pfaff H, Abholz H, Glaeske G, Icks A, Klinkhammer-Schalke M, Nellessen-Martens G, Neugebauer EA, Ohmann C, Schrappe M, Selbmann HK, Stemmer R; Vorstand des Deutschen Netzwerkes Versorgungsforschung. Health services research: essential for allocation decisions - joint statement. Dtsch Med Wochenschr. 2011;136(48), S, 2496-500.
4. Gesundheitsberichterstattung des Bundes, www.gbe-bund.de; Abrufdatum 17. Mai 2015.
5. Stifterverband für die deutsche Wissenschaft, Statistik zur Forschung und Entwicklung im Wirtschaftssektor, April 2015.
6. Wilke T, Gehrke K, Veit A, Müller S. Pharmazeutische Versorgungsforschung in Deutschland: Sachstand und Umsetzung, Implicon Plus Mai 2015.7 PhRMA, Annual Membership Survey 2015, S. 6.

lich des Wertes von Versorgungsforschungsdaten in den alternativen Verwendungen (explorative und vergleichende Versorgungsforschung) sowie erhebliche Unsicherheiten hinsichtlich des Aufwandes bei Studienplanung und -durchführung, was auch die Verfügbarkeit von Daten einschließt, führen in vielen Unternehmen offensichtlich zur Zurückhaltung bei Umsetzung von Versorgungsforschungsstudien. Der geringe Formalisierungsgrad der Planung von Versorgungsforschungsstudien und die mangelnde Einbindung höherer unternehmensinterner Distanzen/Bereiche zeigen zudem, dass Versorgungsforschungsdaten aktuell oftmals kein systematischer, sondern eher ein punktuell-lokaler Nutzen beigemessen wird.

Es ist die Hypothese der Autoren, dass Versorgungsforschungsstudien an Bedeutung gewinnen werden und dies einher geht mit stärker formalisierten und damit auch transparenter strukturierten Planungs- und Genehmigungsprozessen innerhalb der pharmazeutischen Unternehmen[6]. Diese Entwicklung wird teilweise von den Unternehmen selbst initiiert werden, aber auch extern geprägt sein durch eine von den Autoren dieses Beitrags prognostizierte höhere Akzeptanz von Versorgungsforschungsdaten durch folgende Makro-Trends: (1) Umsetzung des GKV-Versorgungsstärkungsgesetzes, (2) zunehmende Erstattung von pharmazeutischen Produkten in Abhängigkeit ihres „Real-Life-Nutzens" und evtl. sogar auf Basis von „Real-Life Health Economic Models" sowie (3) Umsetzung von innovativen/neuen Versorgungsformen und -strukturen, die auch pharmazeutische Produkte einschließen.

Die präsentierten Befragungsergebnisse zeigen, dass diese Entwicklung in pharmazeutischen Unternehmen bereits ihren Anfang genommen hat, allerdings auch noch deutlicher formaler, prozessualer und inhaltlicher Entwicklungsbedarf besteht, bis Versorgungsforschung in der Umsetzung von pharmazeutischen Unternehmen den Stellenwert hat, den sie (scheinbar) bereits jetzt in offiziellen Verlautbarungen von Vertretern der Politik/Selbstverwaltung besitzt. <<

Survey of Pharmaceutical Companies: Implementation of Health Services Research in Germany

A survey of 55 members of the BPI revealed that in their opinion Health Services Research is an important part of their own research activities. However, the companies also find the execution of Health Services Research studies to be a challenge. Reported reasons for this are deficits in knowledge about the potentials and limits of such projects. Furthermore, a lack of time and shortage of financial resources are also highlighted. As there is no universal consensus on standards and the data generated from Health Services Research studies are only considered to a low extent, the benefit from Health Services Research studies is assumed to be low.

The results of the survey show that there is a definite need for development of standard study protocols in terms of form, processes and content, before the implementation Health Services Research will receive a high priority by pharmaceutical companies. Still, the importance of Health Services Research from a business perspective is increasing.

Keywords

Health Services Research Study, Health Services Research Study Types, Real-World Evidence, Pharmaceutical Companies

Autorenerklärung

Befragung der BPI-Unternehmen und die Erstellung der Publikation wurden vom BPI finanziell gefördert.

Prof. Dr. rer. oec. Thomas Wilke
ist Gesundheitsökonom. Seit 2004 ist er als Professor an der Hochschule Wismar tätig und leitet seit 2006 das Institut für Pharmakoökonomie und Arzneimittellogistik, welches mit pharmazeutischen Unternehmen, Pharmagroßhändlern sowie Krankenkassen wissenschaftliche Studien durchführt. Seit 2015 ist Prof. Dr. Wilke Partner der europäischen Health-Care-Beratung Ingress-Health.
Kontakt: thomas.wilke@ipam-wismar.de



Dr. rer. oec. Katja Gehrke
ist seit mehr als 10 Jahren als Geschäftsfeldleiterin Strategische Grundsatzfragen Gesundheitswesen beim BPI, Berlin, tätig. Zu ihren Arbeitsschwerpunkten zählen Steuerungselemente in der ambulanten Arzneimittelversorgung, Fragen der Versorgungsforschung sowie die Pharmaindustrie als ein industrieller Kern der Gesundheitswirtschaft. Sie studierte Volkswirtschaftslehre an der TU Berlin, Université Libre à Bruxelles und am Institut d`Études Européennes in Brüssel. Kontakt: kgehrke@bpi.de



Veit Anton, M.A.
ist seit 5 Jahren als Referent für Strategische Grundsatzfragen Gesundheitswesen beim BPI, Berlin, tätig. Zu seinen Arbeitsschwerpunkten zählen u. a. Analysen zum AMNOG und zu Steuerungselemente in der ambulanten Arzneimittelversorgung, die pharmazeutische Industrie als Teil der Gesundheitswirtschaft und Aspekte der Versorgungsforschung. Er hat Public Health and Administration sowie Social- and Healthcaremanagement an der HS Neubrandenburg studiert. Kontakt: vanton@bpi.de



Sabrina Müller
ist Projektleiterin der Ingress-Health HWM GmbH. Seit 2009 war sie als wissenschaftliche Mitarbeiterin des IPAM tätig und betreute eine Vielzahl an Versorgungsforschungsstudien in unterschiedlichen Indikationen. Weiterhin ist Sabrina Müller Dozentin eines Fernstudiengangmoduls zur „Versorgungsforschung, Epidemiologie und Public Health".
Kontakt: sabrina.mueller@ipam-wismar.de

