Novartis Pharma
Dr. Andreas Kress (Leiter Market Access, Gesundheitspolitik, Key Account-Management)



1) Welche „anwendungsbegleitende Datenerhebungen" sind bisher schon durchführt worden, national wie international?

- Nicht-interventionelle Studien, Register; EU-weite Register (z. B. iABC Register für Cystische Fibrose)
- RELIANCE – Beobachtung in der seltenen Erkrankungen CAPS und HIDS/TRAPS/FMF
- AQUILA & PROSPECT – Beobachtung in Dermatologie und Rheumtologie mit Secukinumab
- PASS Registry für Luxturna (incl. pediatric)

2) Welche Studien-/Registerdesigns sind verwandt worden?

Prospektive & retrospektive Beobachtungsstudien; Kohortenstudien; Monogruppen- oder Parallelgruppendesigns

3) Welche Evidenzlevel können erzeugt werden?

Es werden z.B Versorgungslücken identifiziert, Daten zur Sicherheit und Wirksamkeit neuer Therapien gewonnen und Informationen über das Management unerwünschter Ereignisse generiert. EbM Klasse III bis IIa

4) Wie unterscheiden sich Registerdaten von den in RCT erzeugten?

In den RCT wird die Studienpopulation sehr stark reguliert und begrenzt durch Ausschluss von z.B Komorbiditäten. Im Gegenzug wird in den Registern und den NIS die reale Patientenpopulation erfasst, inklusive aller Komorbiditäten und Begleitmedikamenten in jeglicher Alterstruktur (ggf. Einschränkungen bei pädiatrischen Patienten)

5) Wie fließen diese Daten bisher in die Nutzenbewertung ein?

Market Access vermehrt in Diskussion mit dem GKV-SV (z.B. Größe von Subpopulationen), jedoch aktuell nicht im Rahmen der frühen Nutzenbewertung

Roche Pharma
Dr. Susanne Schach
(Real World Data Director bei Roche Pharma)



1) Welche „anwendungsbegleitende Datenerhebungen" sind bisher schon durchführt worden, national wie international?

- Register (in Deutschland z.B. RABBIT in der Rheumatologie, Klinische Krebsregister)
- Nicht-interventionelle Studien, darunter PASS (Post Authorisation Safety Study) und PAES (Post Authorisation Efficacy Study)
- Retrospektive Analysen von Daten aus der Routineversorgung – wenn Datenschutzrechtlich möglich

2) Welche Studien-/Registerdesigns sind verwandt worden?

- Prospektive Nicht-interventionelle Studien
- Retrospektive Datananalysen, z. B. Patient Chart Reviews, Analyse von Real World-Data aus electronic Health Records (wie z. B. Fltairon Database)
- Registerplattformen (RABBIT, auch die Projekte von iomedico)

3) Welche Evidenzlevel können erzeugt werden?

Daten aus der klinischen Routine weisen per se ein Verzerrungspotenzial auf. Methodische Verfahren wie statistische Adjustierungen können dies teilweise, aber nicht komplett ausgleichen

4) Wie unterscheiden sich Registerdaten von den in RCT erzeugten?

- RWD haben normalerweise andere Endpunkte, z.B. wird in der klinischen Routine nicht PFS erfasst
- Festgelegte Messzeitpunkte lassen sich nicht so umsetzen wie in klinischen Studien
- Safety: Ein komplettes Safety-Reporting wie in klinischen Studien ist bei einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung nicht machbar
- In der Regel werden von den Patienten nicht die gleichen Variablen erfasst, damit ist meist weniger über den Patienten bekannt (bzgl. Co-Medikation, Vorerkrankungen etc.)

5) Wie fließen diese Daten bisher in die Nutzenbewertung ein?

Schon heute werden Daten aus Registern, NISsen und sekundäre Datenanalysen verwendet, um die Epidemiologie sowie den Versorgungsalltag der betreffenden Patienten darzustellen. Auch zur Darstellung der Wirksamkeit wurden bereits Real World-Data genutzt, z.B. als externer Kontrollarm in einarmigen Studien – bislang jedoch nicht durch IQWiG/G-BA akzeptiert – angeführt wurden methodische Gründe

Auszug aus dem Referentenentwurf für das „Digitale Versorgung Gesetz"

>> Wesentliche Ziele des Referentenentwurfes zum „Gesetz für eine bessere Versorgung durch Digitalisierung und Innovation" (kurz: Digitale Versorgung Gesetz) – ausführlich dargestellt in der kommenden Ausgabe von „MA&HP":

- Der Innovationsfonds wird bis 2024 verlängert. Zudem soll ein Verfahren entwickelt werden, mit dem erfolgreiche Ansätze schnell in die Versorgung kommen. Kassen können sich künftig aber auch mit eigenem Kapital (bis zu 2% ihrer Finanzreserven) an der Entwicklung digitaler Innovationen beteiligen.
- Kassen müssen ihren Versicherten spätestens ab dem 1.1.2021 eine elektronische Patientenakte anbieten. Damit diese auch gefüllt wird, erhalten Patienten zeitgleich einen Anspruch darauf, dass ihr Arzt Daten in die ePA einträgt. Das gilt auch nach einer Behandlung im Krankenhaus. Das Anlegen und Verwalten der ePA wird vergütet. Ab 2022 können Versicherte bei einem Krankenkassenwechsel ihre Daten aus der ePA standardisiert übertragen lassen.
- Künftig können sich Patienten APP-Anwendungen auf Kosten der gesetzlichen Krankenversicherung von ihrem Arzt verschreiben lassen. Dafür wird ein zügiger Zulassungsweg für die Hersteller geschaffen.
- Apotheken (bis März 2020) und Krankenhäuser (bis März 2021) werden verpflichtet, sich an die Telematik-Infrastruktur anschließen zu lassen. Hebammen und Entbindungspfleger, Physiotherapeuten sowie Pflege- und Rehabilitationseinrichtungen bekommen die Möglichkeit dazu. Die Kosten für die freiwillige Anbindung werden erstattet. Praxisinhabern, die noch immer nicht an die TI angeschlossen sind, droht ab März 2020 eine Honorarkürzung von 2,5 Prozent.
- Nach der elektronischen Arbeitsunfähigkeitsbescheinigung und dem E-Rezept kommt die elektronische Heil- und Hilfsmittelverordnung. In Pilotprojekten soll ausgelotet werden, wie die Verordnungen zum Beispiel für Physiotherapie digital gespeichert und elektronisch an den Therapeuten übermittelt werden können. Bislang bekommen Ärzte für ein versendetes Fax mehr Geld als für das Versenden eines elektronischen Arztbriefs. Künftig erhalten sie deutlich weniger Geld für das Fax, so dass es attraktiver wird, den eArztbrief zu nutzen. <<