

vfa/vfabio/ACHSE Veranstaltung
Stellenwert der Lebensqualität bei Arzneimitteln – ein 360°-Blick

Wie kann die Lebensqualität bei der Entwicklung von Arzneimitteln besser berücksichtigt werden?

Berlin, 02. Februar 2017

MSD SHARP & DOHME GMBH
Dr. med. Peter Kaskel, MBA
Senior Market Access Manager

Hinweis

Die nachfolgende Aussagen geben nicht notwendigerweise die Meinung von MSD, sondern die des Autors wieder.



Endpunktediskussion: Fokus Patient

Besondere Rolle des Gesamtüberlebens, insbesondere in der Onkologie

- Seitens Zulassung und internationaler HTA Behörden auch Überleben ohne Fortschreiten der Krebserkrankung (PFS)

Wie erlebt der Patient das Ansprechen auf die Therapie?

- Wichtig in humanistisch geprägten Gesellschaften
- Zentraler Bestandteil des Arzneimittelmarktneuordnungsgesetzes (AMNOG)
- Standardisierte, validierte (auch für die jw. Sprache) Instrumente zur Erhebung **patientenberichteter Endpunkte*** ermöglichen valide Ergebnisse
- Herausforderung: 6.000 bis 8.000 seltene Erkrankungen / ca. 4 mio Patienten total[#]

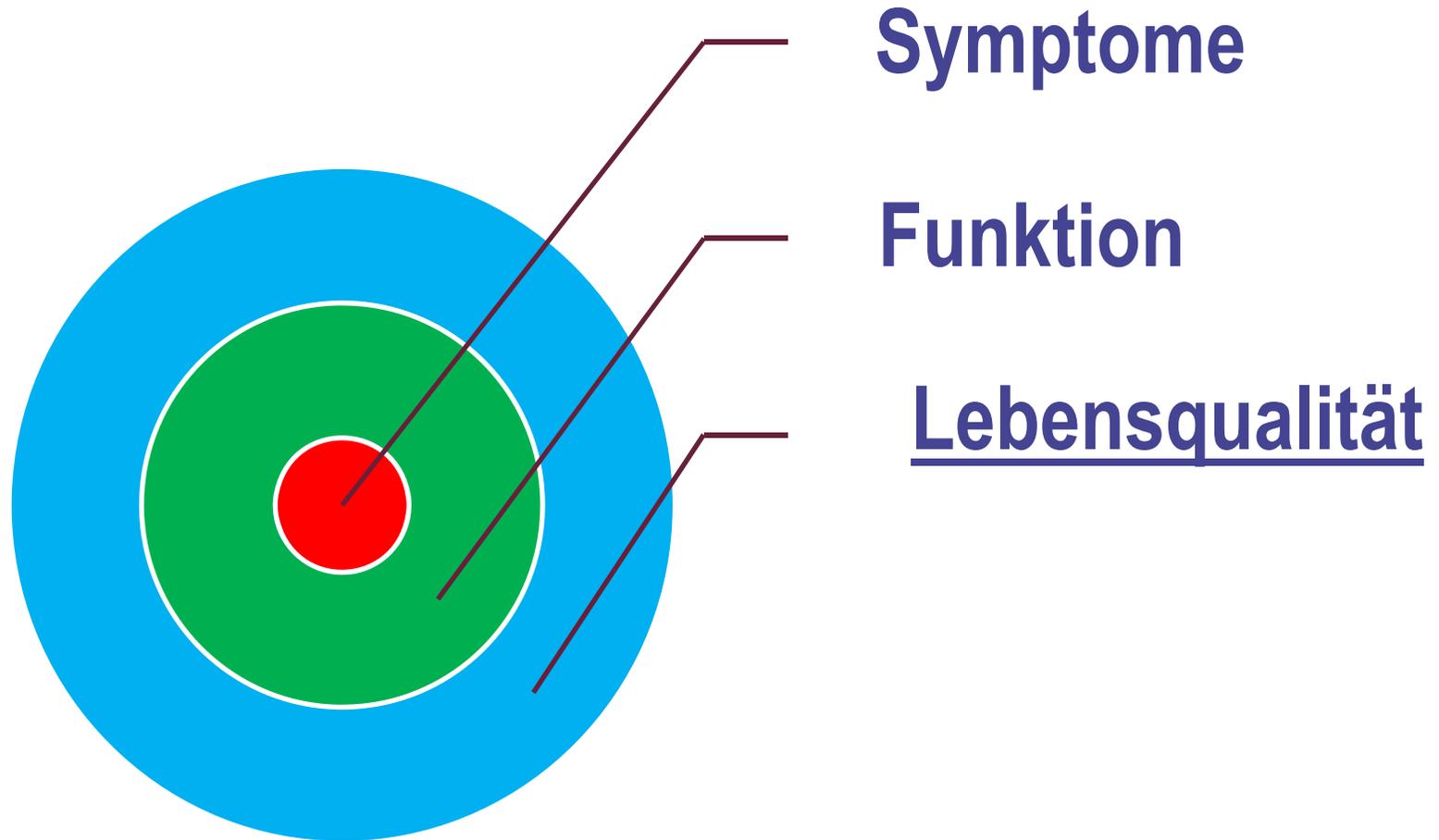
HTA=Health Technology Assessment

**(engl. Patient Reported Outcomes; PROs)*

Quelle vfa



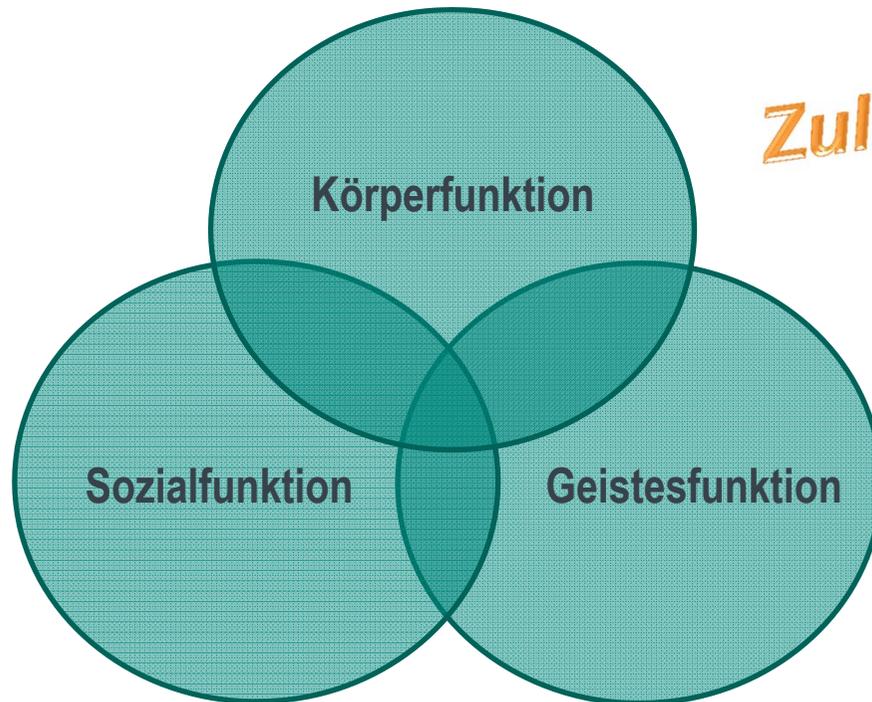
Patientenberichtete Endpunkte betreffen unterschiedliche Dimensionen der Erkrankung



Nach Cella, 2013

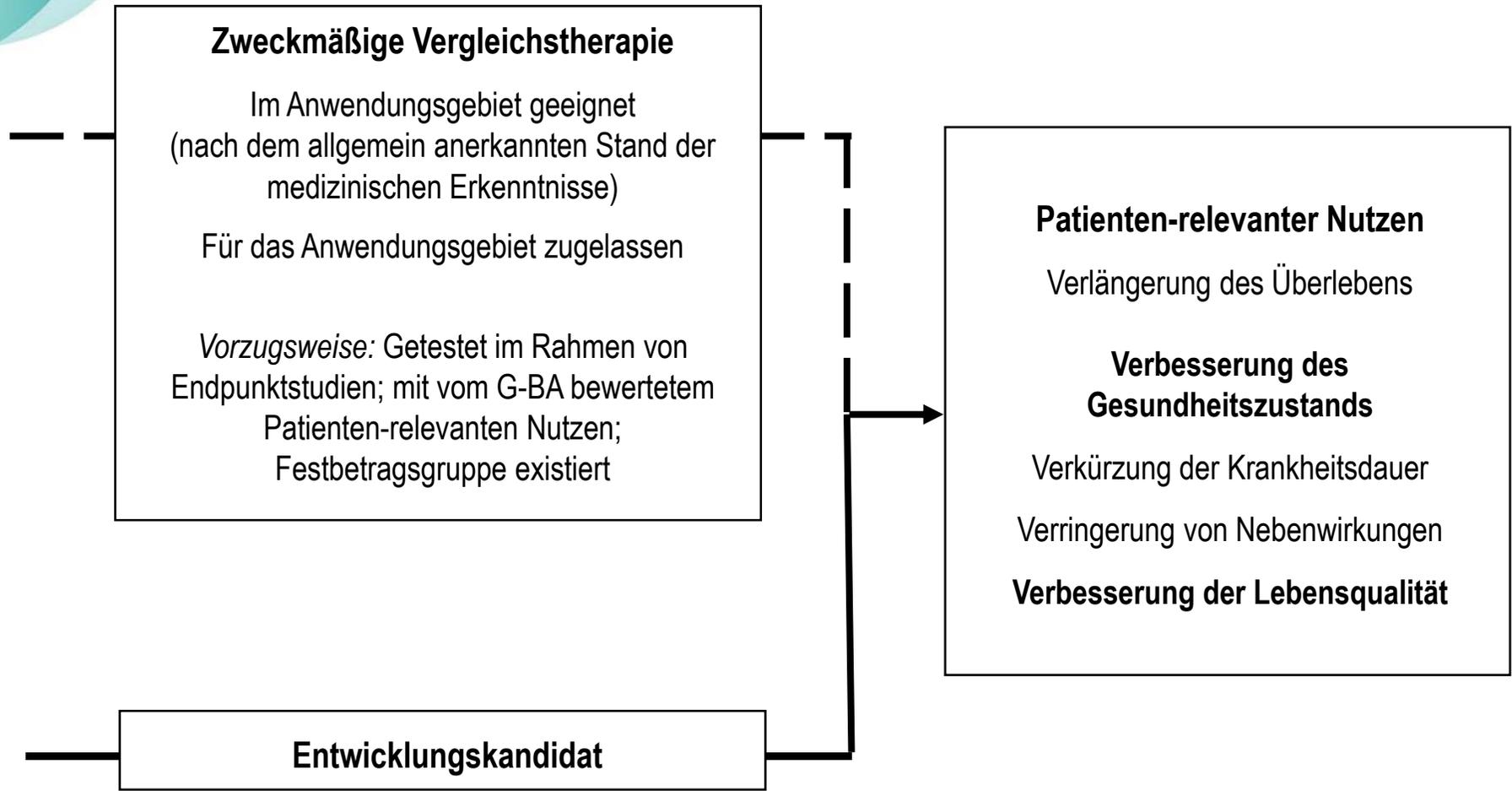
Gesundheitsbezogene Lebensqualität: Ein multidimensionales Konzept. Sicht des CHMP.

Messung des Ausmaßes, in wie weit das Wohlergehen des Patienten durch die Erkrankung und / oder die Behandlung beeinträchtigt ist



Zulassungsrelevanz?

Schlüsselbegriffe AMNOG (§35a SGB V)



SGB=Sozialgesetzbuch
G-BA=Gemeinsamer Bundesausschuss



Wie vorgehen? Planung

AMNOG ist ein **Gesetz** & Deutschland ein **wichtiger Markt**

Keine Hierarchisierung der Endpunkte durch dt. HTA

- Studienqualität (PICO) & Prä-Definition entscheidend

Sehr gute generische / krankheitsspezifische Instrumente

- **Frühberatung G-BA** gibt zusätzliche Sicherheit

PRO Vorteil Darstellung **anspruchsvoll** – AMNOG als lernendes System

- Historie: Vorteile **PRO** können **Nutzenbewertung verbessern**
- Aber: **G-BA/IQWiG** akzeptieren **PRO Daten oft nicht**

PICO=Patientenpopulation/Indikation/Vergleichstherapie(Comparator)/Ergebnisse(Outcomes)

PRO=Patientenberichtete Endpunkte (engl. Patient Reported Outcomes)

Umsetzung

PROs bereits in Phase I/II mitlaufen lassen

Aufklären, aufklären, aufklären

- Verständlichkeit der PROs auf Patientenseite erhöhen
- Ein **zufriedener Patient hilft auch dem Arzt**
- Ein patientenrelevanter Nutzen hilft auch der KliFo

Phase II/III: Dranbleiben

- Beantwortungsraten
- Data cleaning
- PRO Auswertung
- AMNOG-spezifische Analysen

AMNOG als lernendes System nutzen

KliFo=Klinische Forschung der pharmazeutischen Unternehmen



PRO Lernfelder AMNOG

- **Selbsteinschätzung durch Krankheit beeinträchtigt ?**
- Sog. „**floor**“ / „**ceiling**“ **Effekte** generischer Fragebögen
- **Vorbehalte** Zulassungsbehörden / KliFo
- Mögliches Verzerrungspotenzial, bes. bei **offenem Design**
- **Rücklaufzeiten** bei explorativen Endpunkten
- Mögliche Imbalance der Rücklaufzeiten zwischen den Studienarmen, z.B. durch **frühzeitigen Studienabbruch**
- **Klinische Relevanz** der Unterschiede?
- Erhalt der Lebensqualität kann schon patientenrelevant sein
- Neue Ansätze, z.B. Item Datenbanken (PROMIS®)*

**Patient-Reported Outcomes Measurement Information System*



Beispiele (Auswahl)

- Nicht-kleinzelliges Bronchialkarzinom (Crizotinib)
- Melanom (Pembrolizumab)
- Pulmonale Hypertonie [Riociguat (O), Macitentan (O)]
- Visusbeeinträchtigung [Aflibercept, Idebenon (O)]
- Morbus Fabry [Migalastat (O)]
- Erythropoetische Protoporphyrinurie [Afamelanotid (O)]
- Zystische Fibrose [Ivacaftor (O)]

O=Arzneimittel für Seltene Leiden



Ziel: PRO Akzeptanz seitens Zulassung und HTA

Der erfolgversprechendste Weg, die Lebensqualität bei der Entwicklung von Arzneimitteln besser zu berücksichtigen ist:

