



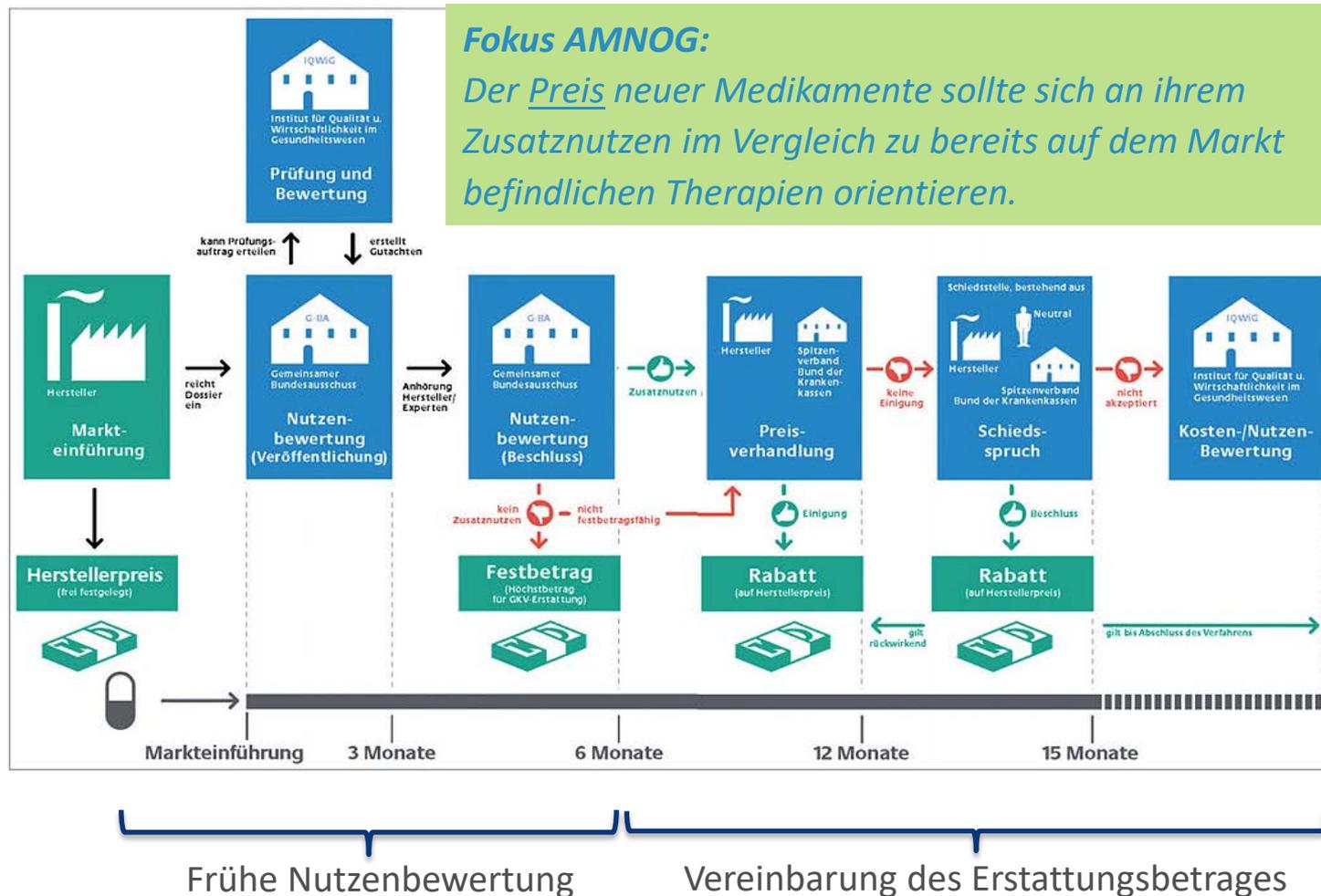
# Register: Die Rolle bei der frühen Nutzenbewertung

***Kristina Bardenheuer, MSc***

*01.02.2018 | Health Economics & Outcomes Research*

# Register: Die Rolle bei der frühen Nutzenbewertung

## Kurzexkurs AMNOG



## Warum Register?

### Eine Forderung vom G-BA:

- Registerauflage bei einer Befristung im Rahmen der Nutzenbewertung

### Freiwillig vom Hersteller:

- Modul 3 (besonders: Quantifizierung Zielpopulation)
- Modul 4 (Darstellung der Studienergebnisse)
- Register (eigenständig/in Kooperation) aufgesetzt, um Datenlücke zu schließen/Wissen zu generieren

Register als  
„Strafe“ oder  
„Chance“?

## Register: Die Rolle bei der frühen Nutzenbewertung

# Register in der frühen Nutzenbewertung

## Verfahren mit Registerauflagen seitens des G-BA

Name	Indikationsgebiet	GKV- Population	Zusatznutzen
<b>Sebelipase alfa</b> ( <b>Kanuma®</b> )	<b>Stoffwechselkrankheit</b> (Mangel an lysosomaler saurer Lipase)	Säuglinge: 4-5 Pat. Alter > 6 Mon: 27- 838 Pat.	Nicht quantifizierbar (Orphan Drug)
<b>Asfotase alfa</b> ( <b>Strensiq®</b> )	<b>Stoffwechselkrankheit</b> (Hypophosphatasie im Kindes- und Jugendalter)	1.000 Pat.	Nicht quantifizierbar (Orphan Drug)
<b>Idebenon</b> ( <b>Raxone®</b> )	<b>Augenerkrankung</b> (Lebersche hereditäre Optikusneuropathie)	1.500-3.000 Pat.	Nicht quantifizierbar (Orphan Drug)
<b>Afamelanotif</b> ( <b>Scenesse®</b> )	<b>Stoffwechselkrankheit</b> (erythropoetischer Protoporphyrurie)	540-1.090 Pat.	Nicht quantifizierbar (Orphan Drug)
<b>Cerliponase alfa</b> ( <b>Brineura®</b> )	<b>Stoffwechselkrankheit</b> (Neuronale Ceroid-Lipofuszinose)	20-40 Pat.	Nicht quantifizierbar (Orphan Drug)

# Register in der frühen Nutzenbewertung

## Auszug aus den Tragenden Gründen zum Beschluss

„Zum Ablauf der Befristung sind dem G-BA aus dem Register Daten vorzulegen, die eine sicherere Bewertung zum Ausmaß des Zusatznutzens hinsichtlich **patientenrelevanter Endpunkte** (Mortalität, Morbidität, Lebensqualität und Nebenwirkungen) einer langfristigen Therapie [...] ermöglichen und geeignet sind, den [...] Unsicherheiten im Hinblick auf die Bewertung des **Ausmaßes des Zusatznutzens** abzuhelfen. Es ist anzustreben, dass in das Register **alle Patienten** eingeschlossen werden, bei denen in Deutschland [Medikament] angewendet wird.“

# Register in der frühen Nutzenbewertung

## Registerrauflagen – Gemeinsamkeiten

- Alle 5 Verfahren waren „Orphan Drugs“
- In allen Verfahren wurde von der EMA zur Zulassung eine Registerrauflage gefordert
- 3 Verfahren mit Beschlussfassung am gleichen Tag
- Eher kleinere Hersteller
- Häufig „geringe Evidenz“ (Phase II)

Bisher gibt es 5 Verfahren mit einer Registerauflage seitens des G-BA

# Register in der frühen Nutzenbewertung

## In Modul 3

- Beispiel zur Bestimmung der Inzidenz/Prävalenz: Krebsregister
- Beispiel zur Bestimmung der Zielpopulation: GEPICquer-Register

Register spielen auch im Dossier eine Rolle

# Register in der frühen Nutzenbewertung

## In Modul 4

⇒ Beispiele zur Evidenz des medizinischen Nutzens

⇒ Cerliponase alfa

Register spielen auch im Dossier eine Rolle



Abbildung: <http://www.imi-getreal.eu/>

## Wann sind Register sinnvoll?

- Wenn RCTs methodisch oder ethisch nicht durchführbar sind, z.B.
  - o Kinder
  - o hoher medizinischer Bedarf
- Registerdaten und RCTs können sich ergänzen

**Vorschlag:** Harmonisierung von Zulassung und Nutzenbewertung (Einbindung G-BA auf europäischer Ebene)

Siehe auch: VfA Positionspapier „Register im AMNOG: sinnvolle Ergänzung in besonderen Therapiesituationen“

## Register: Die Rolle bei der frühen Nutzenbewertung

# Stolpersteine auf dem Weg

- Qualität der Register(daten)
- Ressourcen, Förderung/Finanzierung z.T. befristet
- Fallzahl
- Therapien/Population müssen zum Anwendungsgebiet passen
- Vollerhebung
- Übersicht („Register über Register“)
- Cave: Zentrenbildung, Einschränkung der Verordnungsfähigkeit => Einschränkung der Patientenrechte

# Register: Die Rolle bei der frühen Nutzenbewertung

## Wohin führt der Weg?

### Chancen der Akzeptanz

- Beim G-BA bisher gering, aber mit zunehmender Forderung wird hier eine Akzeptanz sichtbar.
- Hecken: Im Falle von fehlender Evidenz sollten Daten von Patienten, welche mit Orphan Drugs behandelt werden in Registern dokumentiert werden.<sup>1</sup>
- „Es gibt in Deutschland nur 3 Register, die in der Lage sind, patientenrelevante Daten, wie sie der G-BA fordert, zu generieren.“ => es gibt 3 Register
- RCT ist Goldstandard

<sup>1</sup> [http://new.apmhealthurope.com/print\\_story.php?uid=&objet=55186](http://new.apmhealthurope.com/print_story.php?uid=&objet=55186) und [https://www.aerztezeitung.de/politik\\_gesellschaft/arsneimittelpolitik/article/944882/orphan-drugs-gba-chef-hecken-fordert-neuregelungen.html](https://www.aerztezeitung.de/politik_gesellschaft/arsneimittelpolitik/article/944882/orphan-drugs-gba-chef-hecken-fordert-neuregelungen.html)

Register: Die Rolle bei der frühen Nutzenbewertung

**Kurzum:**

---

Fazit

Register können einen Mehrwert liefern, sind allerdings kein „Allheilmittel“.

Es sind noch viele Fragen offen...

**Vielen Dank!**

Fragen im Nachgang gerne an:  
[kbardenh@its.jnj.com](mailto:kbardenh@its.jnj.com)

janssen

PHARMACEUTICAL COMPANIES

OF *Johnson & Johnson*

