

Andrea | **Morbus Gaucher**

REGISTER ALS BESTANDTEIL DER ARZNEIMITTEL- ZULASSUNG: AM BEISPIEL VON MORBUS GAUCHER

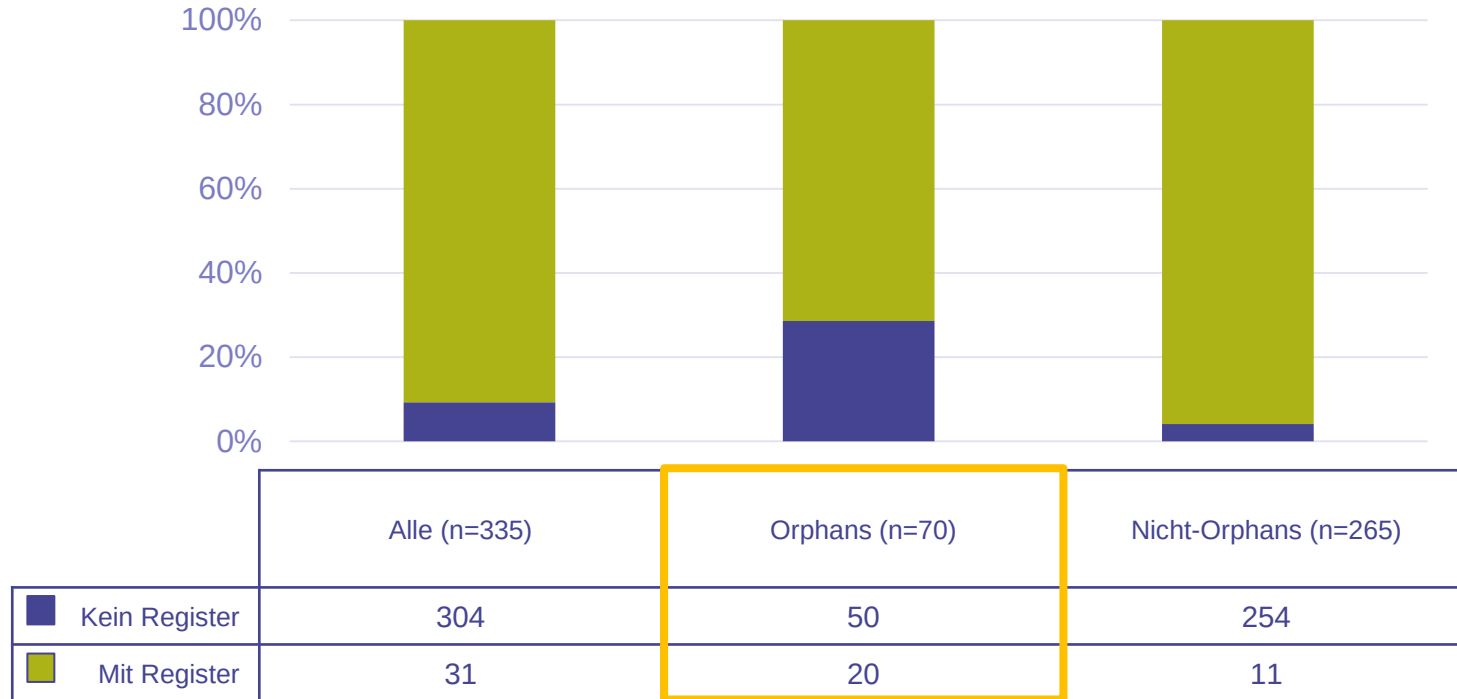
MARTINA OCHEL – GESCHÄFTSFÜHRERIN, SANOFI GENZYME UND STELV. VORSITZENDE VFA BIO
01. Februar 2018

AGENDA

- Übersicht über Sanofi Genzyme Register
- Zugriffsrechte
- Das Morbus Gaucher Register



Register für zentral von der EMA zugelassene Arzneimittel



Quelle: X. Kurz et al. (2017); 2005–2013. PHARMACOEPIDEM DR S, S. 1442-1450

Was ist ein Register?

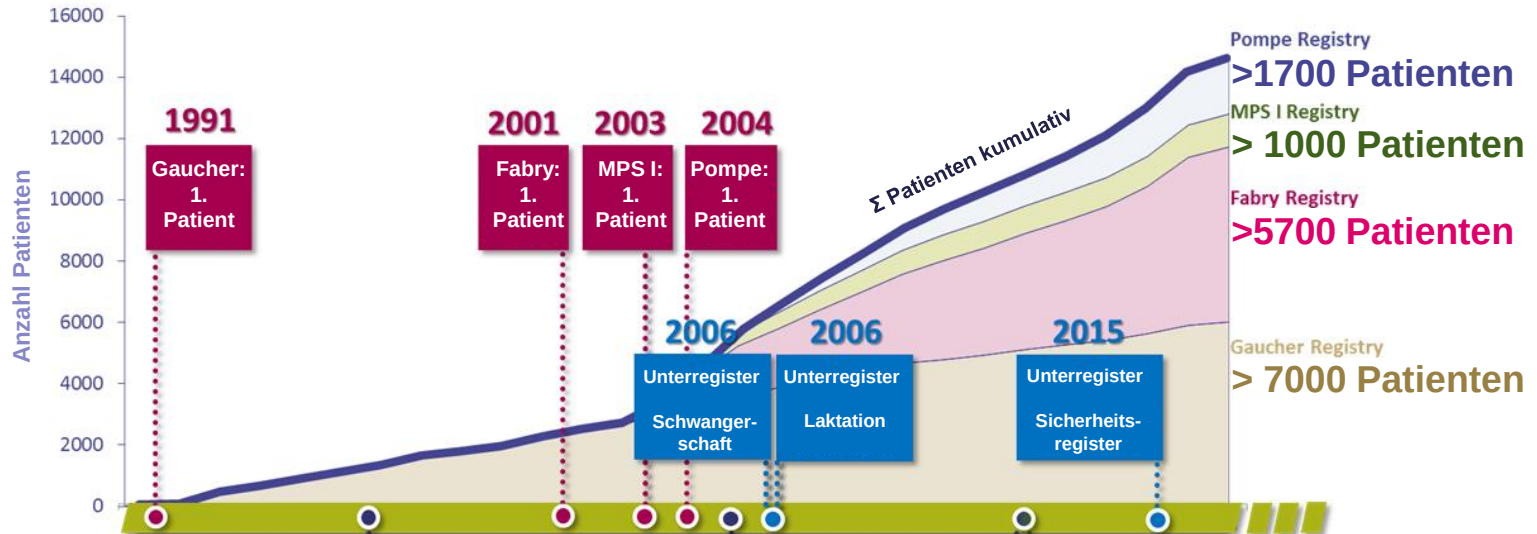
- Studie (im Sinne einer nicht-interventionellen Studie)
- Dokumentation des Verlaufs einer Erkrankung mit und ohne Therapie
- Unterstützung bei Fragestellungen wie z. B.
 - Gewinnung von neuen Erkenntnissen zur Erkrankung
 - Gewinnung von neuen Erkenntnissen in der Therapie
 - Sind bestimmte Regionen (z.B. Asien) mehr/weniger betroffen?
 - Wird in einem Land etwas gut gemacht, was Patienten in anderen Ländern helfen kann? (Share Best Practice)

Registerstudien von Sanofi Genzyme: Seltene Erkrankungen – Überblick



Krankheitsregister!

Registerstudien von Sanofi Genzyme: Viele Patienten machen mit!



Wie ist das Register organisiert?

- **Strikte Auflagen**

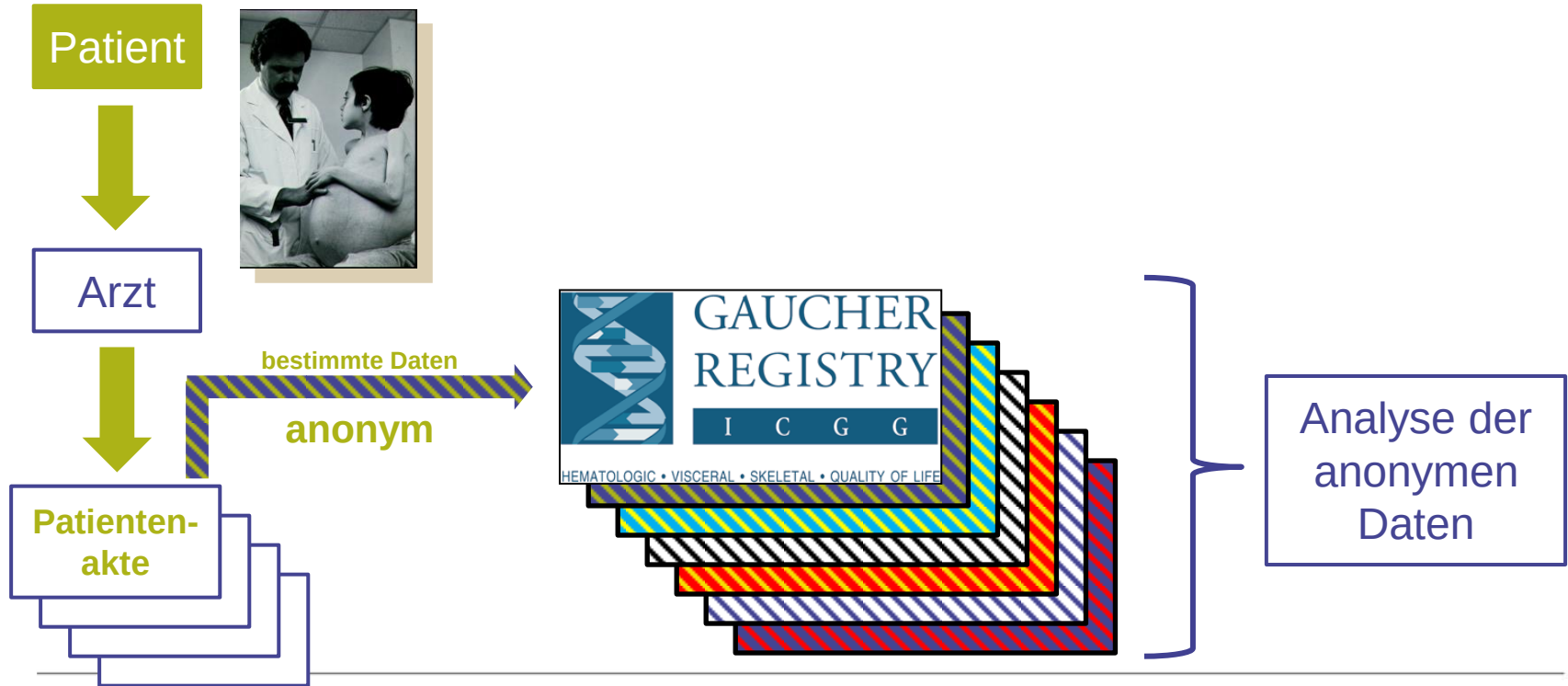
- Vergleichbar zu klinischen Studien
- Erfassung und Bearbeitung von Daten unter Befolgung lokaler und internationaler Datenschutzrichtlinien
- Berichte an Gesundheitsbehörden und Expertengruppen

- Unabhängige Experten (Ärzte mit herausragender wissenschaftlicher und klinischer Expertise) bestimmen die Ausrichtung des Registers in einem internationalen „**Board of Advisors**“ (Beaufsichtigungskomitee):

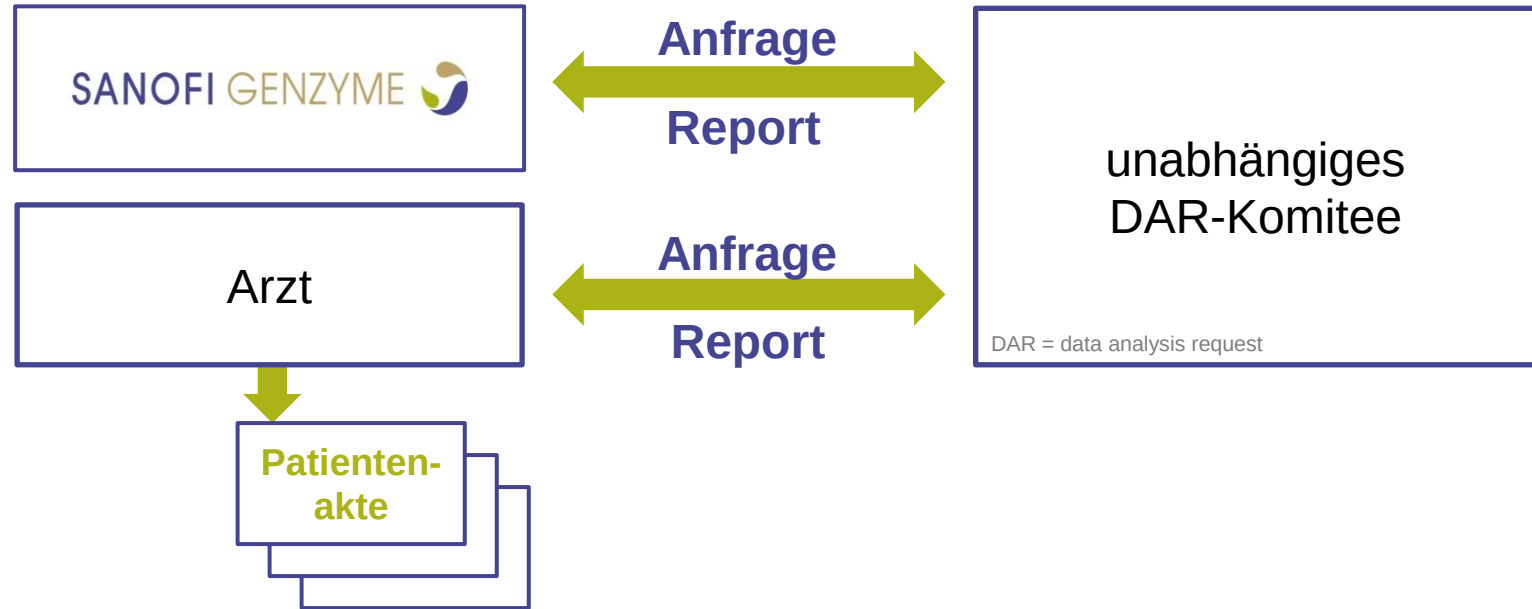
- Design
- Durchführung
- Strategie

- Sanofi Genzyme vergütet die Leistung jedes Beitrages eines teilnehmenden Arztes angemessen (Disclosures) unter Einhaltung von Transparenz- und Compliance-Anforderungen

Was passiert mit den Patientendaten?



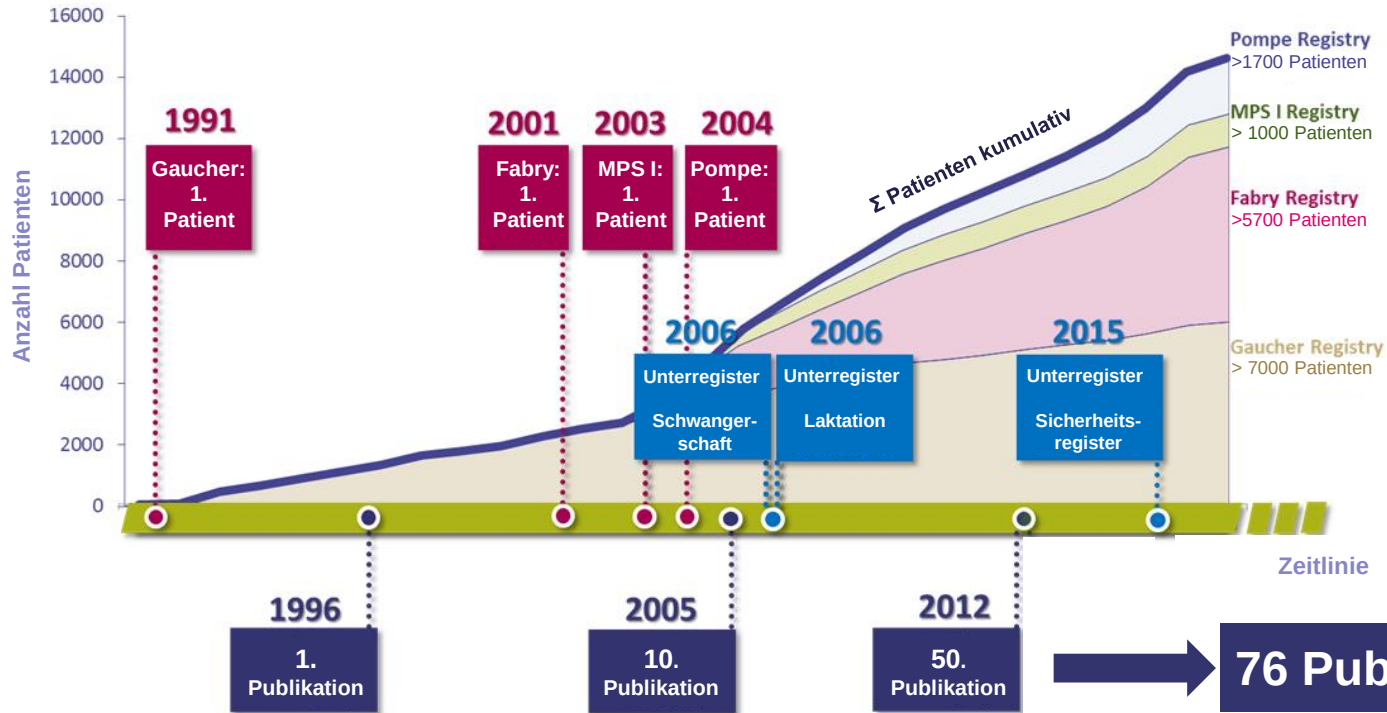
Wer kann auf die Daten zugreifen?



Regelmäßige Reports



Was ist bisher dabei herausgekommen?



Das internationale Morbus Gaucher Register



HEMATOLOGIC • VISCERAL • SKELETAL • QUALITY OF LIFE

*“International Collaborative
Gaucher Group”
(ICGG)*

Ziel:

“To provide the Gaucher medical community with recommendations for monitoring patients and to provide reports on patient outcomes to help optimize patient care.”

Quelle: <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT00358943?term=NCT00358943&rank=1>

Eine Lebensaufgabe – Brian Berman



Brian Berman: Einer der ersten Patienten, die eine **Enzym-Ersatz-Therapie (EET)** erhielten.

Das internationale Morbus Gaucher Register

- Gegründet im April 1991
- Ziele des Registers:
 - Globaler Kenntnisk Gewinn über die Erkrankung (unabhängig von Therapien)
 - Primär: Langzeit-Daten über die Wirksamkeit und Sicherheit der ersten zugelassenen Enzymersatztherapie
 - Im späteren Verlauf: Langzeit-Daten über die Wirksamkeit und Sicherheit der zugelassenen Therapien



HEMATOLOGIC • VISCERAL • SKELETAL • QUALITY OF LIFE

International Collaborative Gaucher Group (ICGG)

Link: <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT00358943?term=NCT00358943&rank=1>

Gaucher Registry data from the Annual Report 2010

Patients Enrolled	5710
Disease Type*, n (%)	n=5458
Type 1	5005 (92)
Type 2	62 (1)
Type 3	391 (7)
Sex, n (%)	n=5710
Males	2669 (47)
Females	3041 (53)
Age at Diagnosis† (years)	n=5289
Median (25 th , 75 th)	14 (5, 30)
Mean (SD)	20 (18)
Min, Max	<0†, 91
Age at Diagnosis†, n (%)	n=5289
Prenatal‡ to <10 years	2252 (43)
10 to <20 years	877 (17)
20 to <30 years	807 (15)
30 to <40 years	550 (10)
40 to <50 years	380 (7)
50 to <60 years	224 (4)
60 to <70 years	135 (3)
70 years or more	64 (1)
Treatment Status, n (%)	n=5704
Ever on imiglucerase	4514 (79)
Never on imiglucerase	1190 (21)

Unabhängig vom Erkrankungstypus
(therapierbar und nicht-therapierbar)

Unabhängig vom Hersteller

Das Morbus Gaucher Register

- ICGG Registry (www.clinicaltrials.gov, NCT00358943)
- 2015 generierten Ärzte aus 60 Ländern Daten von 6000 Patienten.
- Diese anonymisierten Daten repräsentieren 54 000 Patientenjahre an Krankheitsverlaufserfahrung.
- Das Register wird logistisch und finanziell durch Sanofi Genzyme unterstützt.
- Die Durchführung und wissenschaftliche Ausrichtung unterliegt einem zentralen internationalen Gremium, bestehend aus firmenunabhängigen Ärzten, die über anerkannte Expertise der Gaucher Erkrankung verfügen.

Quelle: El-Beshlawy A et al. (2017) Molecular Genetics and Metabolism 120 47–56; Weinreb et al. (2015) American Journal of Hematology, Vol. 90, No. S1

Zulassung für Morbus Gaucher Typ 3

- **1997:** Marktzulassung einer zweiten Generation einer Enzyzersatztherapie bei Patienten mit Typ 1 Morbus Gaucher (EMA)
- **2002:** Einreichung EMEA: Gaucher Registry Daten zeigen gleichwertigen Effekt auf hämatologische und viszerale Parameter bei Patienten mit Typ 3 Morbus Gaucher.
- **2003:** EMEA und EC: Erweiterung der Zulassung für Patienten, die bis dato keine Therapie hatten (und das basierend auf den Registerdaten)

1. Grabowski G, Barton N, Pastores G, Dambrosia J, Banerjee T, McKee M, et al. Enzyme therapy in type 1 Gaucher disease: comparative efficacy of mannose-terminated glucocerebrosidase from natural and recombinant sources. *Annals of internal medicine*. 1995;122(1):33-9.

Fazit

- Krankheitsregister bieten Vorteile vs. Arzneimittelregistern.
- Register sind wichtig, um Daten zu Orphan Drugs außerhalb interventioneller Studien zu gewinnen (real world data).
- Register helfen mehr über Krankheits- und Therapieverläufe zu erfahren.
- Die Datenhoheit muss bei einem unabhängigen wissenschaftlichen Gremium liegen.
- Datenschutz ist Key.

Hannelore | Morbus Gaucher

DANKE

GZDE.GZ.18.02.0089