Register für Seltene Erkrankungen

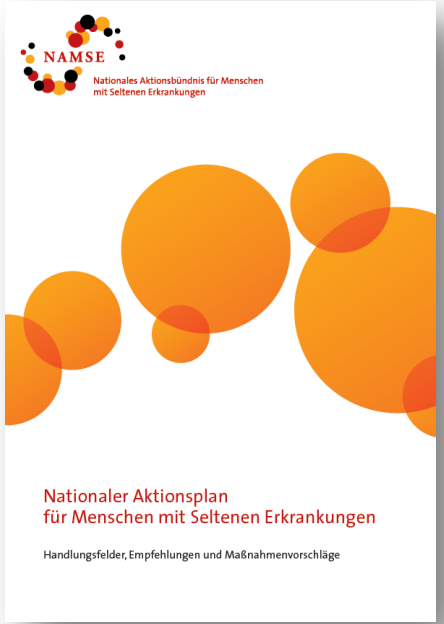
Dr. Miriam Schlangen, Mukoviszidose e.V.

MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

Agenda

- Der Nationale Aktionsplan für Menschen mit Seltenen Erkrankungen
- OSSE
- Das deutsche Mukoviszidose-Register
- Ausblick

MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH



3.4 Handlungsfeld Register

Register können die Pathogenese-, Therapie- und Versorgungsforschung unterstützen, eine Hilfestellung bei der Rekrutierung von Studienteilnehmern leisten und die krankheitsübergreifende Analyse von Forschungs- und Versorgungsdaten erleichtern.

In Deutschland findet zurzeit keine koordinierte Erfassung von Patienten mit Seltenen Erkrankungen statt. Nur für wenige Seltene Erkrankungen existieren krankheitsspezifische Register. Die bestehenden Register sind oft nicht flächendeckend angelegt und haben eine sehr variable Datenstruktur und -sicherheit. Oft fehlt es an einer langfristigen Förderung, die einen nachhaltigen Fortbestand des Registers sichert.

Weiterhin ist die Teilnahme von Registern an übergeordneten und internationalen Registerplattformen aufgrund der teilweise nur sehr geringen Patientenzahlen notwendig. Dafür bereitet die EU die Förderung einer europäischen Registerplattform für Seltene Erkrankungen vor, deren Empfehlungen und Standards im Interesse einer europaweiten Vernetzung auch von deutschen Registern weitgehend umgesetzt werden sollten. Als Voraussetzung für die Kooperation deutscher Register mit internationalen Netzwerken ist es beispielsweise erforderlich, eine Teilmenge der erfassten Informationen, z.B. in Form eines verpflichtenden Minimalsatzes von Datenelementen, schrittweise einzuführen.

NAMSE hat mit Experten des Robert Koch-Instituts, des Epidemiologischen Krebsregisters Niedersachsen und des Tumorzentrums Regensburg folgende Empfehlungen und Maßnahmen ausgearbeitet, mit deren Umsetzung der Zugang zu bereits vorhandenen Registern z.B. durch ein Web-Portal, einem „Telefonbuch" für Register, erleichtert werden soll. Zusätzlich sollen Hilfestellungen für den Aufbau und das Führen von krankheitsspezifischen Registern für Seltene Erkrankungen entwickelt werden, wie z.B. ein Minimalsatz von Datenelementen.

Handlungsfelder

- Versorgung, Zentren, Netzwerke
- Forschung
- Diagnose
- Informationsmanagement
- Register
- Patientenorientierung

MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

Maßnahmenvorschläge im Handlungsfeld Register

- MV 27: Implementierung eines **Web-Portals Register zu SE**
- MV 28: Etablieren einer **Steuerungsgruppe „Register für Seltene Erkrankungen“** (z.B. Betreiber von Registern, Experten)
- MV 29: Entwicklung eines **Modellregisters** für „Krankheitsspezifische Register für Seltene Erkrankungen“
- MV 30: Workshop zur Sammlung und Klärung offener Fragen hinsichtlich eines **Registers für unklare Diagnosen**.
- MV 31: In Abhängigkeit der Ergebnisse des unter MV 30 beschriebenen Workshops kann ggf. ein Projekt für Register für Patienten mit unklarer Diagnose durchgeführt werden.
- MV 32: Projekt **„nicht-krankheitsspezifisches Register“** auf Grundlage der Entwicklung des „Modellregisters“ aus MV 29.

Umsetzungsstand

- **MV 29: Entwicklung eines Modellregisters für „Krankheitsspezifische Register für Seltene Erkrankungen“ (OSSE)**

  Seit Anfang 2015 ist die erste verfügbare Version der OSSE-Register-Software auf der Webseite kostenlos herunterzuladen.

- **MV 28: Etablieren einer Steuerungsgruppe „Register für Seltene Erkrankungen“ (z.B. Betreiber von Registern, Experten)**

  Strategiegruppe ist etabliert. Derzeit wird ein öffentlich zugängliches Positionspapier erarbeitet, in dem bereits bestehende Standards analysiert werden und zu weiteren Themen (z.B. Maßnahmenvorschläge 30 bis 32) Stellung genommen wird. Ein Ziel: Etablierung der Strategiegruppe als Expertengremium und Kommunikationsplattform.

MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

Umsetzungsstand

» **MV 28: Etablieren einer Steuerungsgruppe „Register für Seltene Erkrankungen“ (z.B. Betreiber von Registern, Experten)**

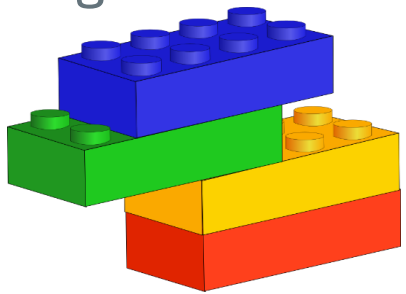
Hinweis im Zusammenhang mit Bestandsaufnahme:

„Es fehlt eine öffentlich zugängliche Informationsquelle mit Dokumenten, konkreten Empfehlungen und Problemlösungen sowie eine geeignete Software für krankheitsspezifische Register“

MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

OSSE

- Open Source, d.h. kostenfrei: Software-Baukasten für Register
- Speziell konzipiert als Register für **Seltene Erkrankungen**
- Einfache Zusammenarbeit zwischen Registern (**Interoperabilität**)
- Ziel: Alle SE haben ein Register und alle Register sind interoperabel
- Lösung für bereits bestehende Register: Anbindung über sog. Brückenköpfe



Dr. Holger Storf
Tel: +49 (0) 69 6301 84438
E-Mail: storf@med.uni-frankfurt.de

- https://www.osse-register.de/de/

MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

Deutsches Mukoviszidose-Register

MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

Mukoviszidose

- Angeborene, seltene Stoffwechselerkrankung
- Störung des Salz- und Wassertransports in die Körperzellen
- zähflüssiges Sekret schädigt Organe wie Lunge, Bauchspeicheldrüse, Leber oder Darm
- komplexe Therapie, Patienten benötigen umfassende Versorgung in spezialisierten Zentren
- bis zu 8.000 Patienten in Deutschland
- ca. 150 bis 200 Kinder werden jährlich mit der seltenen Erbkrankheit geboren

MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

Mukoviszidose e.V.

- Der Mukoviszidose e.V. vernetzt seit 1965 Patienten, ihre Angehörigen, Ärzte, Therapeuten und Forscher.
- Ziel der Arbeit:

  Jedem Betroffenen ein möglichst selbstbestimmtes Leben mit Mukoviszidose ermöglichen.
- Der gemeinnützige Verein
  - leistet Hilfe zur Selbsthilfe,
  - verbessert die Therapiemöglichkeiten,
  - fördert die Forschung,
  - setzt sich für die Belange der Betroffenen gegenüber Entscheidungsträgern in Politik, dem Gesundheitswesen und der Wirtschaft ein.

MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

Deutsches Mukoviszidose Register

- Einheitliche Dokumentation und Beschreibung von
  - Erkrankungsmerkmalen
  - Behandlungsmethoden (Diagnostik und Therapie)
  - Behandlungsergebnissen
- Überblick über die Versorgungssituation von Mukoviszidose-Patienten in Deutschland
- Einordnung der individuellen Gesundheitssituation
- Vergleich und Bewertung unterschiedlicher Vorgehensweisen

MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

Wie funktioniert das Register?

Ideengenerierung: Registerbetreiber

Registersoftware, Hosting, etc.

Datenschutz

Einwilligung der Patienten

Statistik

Ambulanzteam

Datenmanagement

MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

Wie funktioniert das Register?

» Patientenzentrierung

MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

Wie funktioniert das Register?

Prozess Aufbau Register

- Fragestellungen, Festlegung der Items
- Entwicklung & Freigabe Datenschutzkonzept
- Softwarekonzeption und -entwicklung
- Aufbau Registerinfrastruktur
- Einbindung Ambulanzen und Patienten

MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

Mukoviszidose-Register - Historie

1995

Start QS Mukoviszidose

Papierdokumentation

1998

Einführung CFAS

Elektronische Datenerfassung

2007

Einführung MUKO.dok

Ambulanz- und Registersoftware

2013

MUKO.dok

Analyse

2015

MUKO.web Register

Webbasierte Datenerfassung und zentrale Pseudonymisierung

2017

MUKO.web Register

Regelbetrieb

MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

Welche Daten werden erfasst?
Bsp. Mukoviszidose-Register

- Erkrankungsmerkmale (Stammdaten)
  - u.a. Diagnose (Alter und Gründe), Schweißtest und Genetik, …
- Diagnostik (Verlaufsdaten)
  - u.a. Mikrobiologie, …
- Therapie (Verlaufsdaten)
  - u.a. Enzyme, Antibiotika, Inhalationsmedikamente, …
- Ergebnisse (Verlaufsdaten)
  - u.a. Ernährungsstatus, Lungenfunktion, …

MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

Mukoviszidose-Register – Aktuell

- aktuelles Datenschutzkonzept
- Zentrale webbasierte Registersoftware (MUKO.web)
- Externe, zentrale Pseudonymisierung
- Internationale Harmonisierung

MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

Was können Sie vom Register erwarten?

Regelwerk: Geschäfts- & Publikationsordnung

MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

Geschäftsordnung
des Deutschen Mukoviszidose-Registers

Stand: 07.12.2016
Version: 2.0

2016_12_07 Geschäftsordnung 2.0.Docx 1

MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

Publikationsordnung
zur Publikation von Ergebnissen aus dem Deutschen Mukoviszidoseregister des Mukoviszidose e.V.

Stand: 07.12.2016
Version: 1.7

2016_12_07 Publikationsrichtlinie 1.7.Docx 1

MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

Was können Sie vom Register erwarten?

Regelwerk: Datenschutzkonzept & Einwilligungserklärung

MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

Datenschutzkonzept
Deutsches Mukoviszidose-Register

(Stand: 24.06.2015)

Version: 2.0

Herausgeber:
Mukoviszidose Institut gGmbH (MI)
In den Dauen 6
53117 Bonn

Medizinische Leitung:
PD Dr. Lutz Nährlich, Gießen

Projektleitung:
Manuel Burkhart, Bonn

Mitarbeit:
Michasel Volk (Fa. Axaris), Ulm
Maximillian Ataian (Gesakon GmbH), Mainz
Birgitt Wiese (MHH), Hannover

2015_06_24 Datenschutzkonzept Mukoviszidose-Register 2.0.Docx 1

MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

Qualitätssicherung Mukoviszidose
Information und Einwilligungserklärung zur zentralen Erfassung von Daten von Kindern, Jugendlichen und Erwachsenen mit Mukoviszidose

Sehr geehrte Patientinnen und Patienten mit Mukoviszidose,
sehr geehrte Eltern,

hiermit möchten wir Sie/Dich über die Rahmenbedingungen des deutschen Mukoviszidose-Registers informieren und Sie/Dich, um Ihre/Deine Einwilligung zur zentralen Datenerfassung bitten.

Seit 1995 werden Daten im Mukoviszidose-Register erhoben und ausgewertet um den Gesundheitszustand von Mukoviszidose Patienten zu erfassen und an der Sicherung und der Verbesserung der Versorgungsqualität mitzuwirken („Qualitätssicherung Mukoviszidose").

Finanziell wird das Projekt durch den Mukoviszidose e.V. getragen.

Das Projekt zur Qualitätssicherung Mukoviszidose folgt in Methodik, Organisation und seinen Regelungen den bundesweiten Qualitätssicherungsverfahren (§137 Sozialgesetzbuch V).

I. „Wer ist der Registerbetreiber und trägt die Datenschutzrechtliche Verantwortung?"

Das Mukoviszidose Institut – gemeinnützige Gesellschaft für Forschung und Therapieentwicklung mbH (MI) wurde durch den Mukoviszidose e.V. mit der Planung und Koordination des deutschen Mukoviszidose-Registers beauftragt. Es tritt gegenüber den beteiligten Mukoviszidose Einrichtungen, den Patienten und den unterbeauftragten Dienstleistern als verantwortliche Stelle (Registerbetreiber) auf. Als verantwortliche Stelle wird im Sinne des §3 Abs.7 Bundesdatenschutzgesetz (BDSG) die Stelle bezeichnet, die personenbezogene Daten für sich selbst erhebt, verarbeitet oder nutzt oder durch andere im Auftrag vornehmen lässt.

Sie können sich jederzeit an die folgende Adresse wenden, um Ihre Rechte bezüglich Auskunft, Berichtigung, Löschung und/oder Sperrung (vgl. §6 Abs.1 BDSG) geltend zu machen:

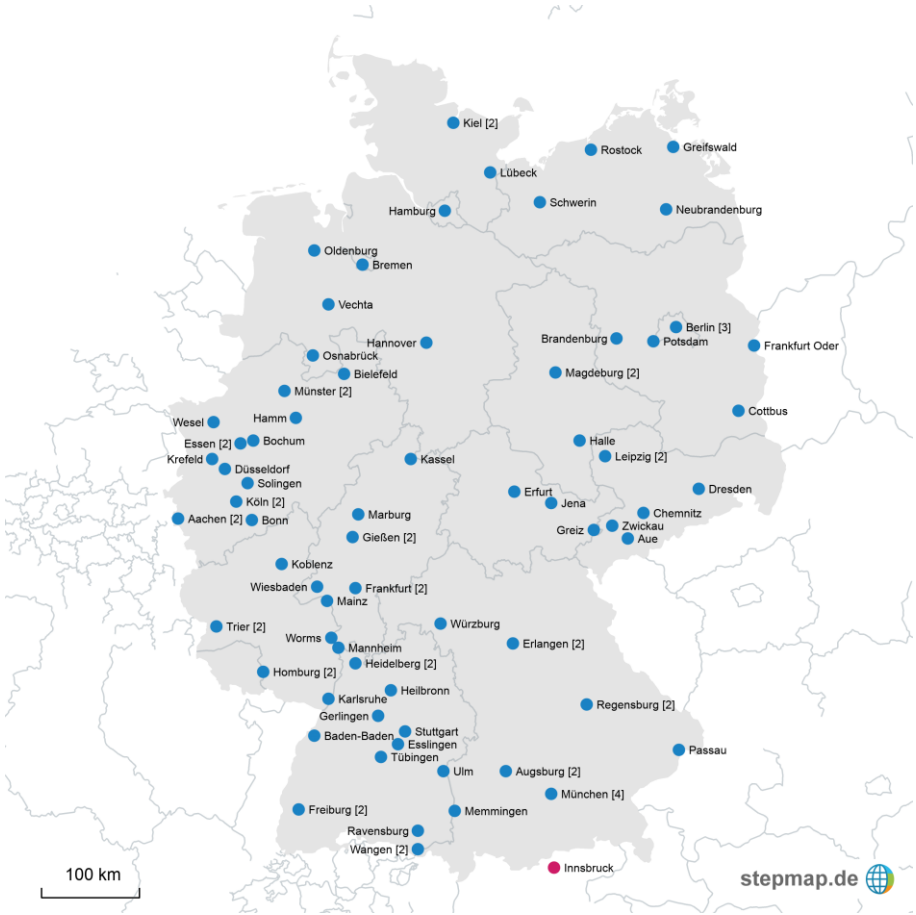
Mukoviszidose Institut - gGmbH
Qualitätsmanagement Mukoviszidose
In den Dauen 6
53175 Bonn
Tel. +49 228/98780
Fax +49 228/98780-77

2016_10_14 Einwilligungserklärung_Patienten Version_2.18.Docx 1

MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

Wer beteiligt sich am Register?

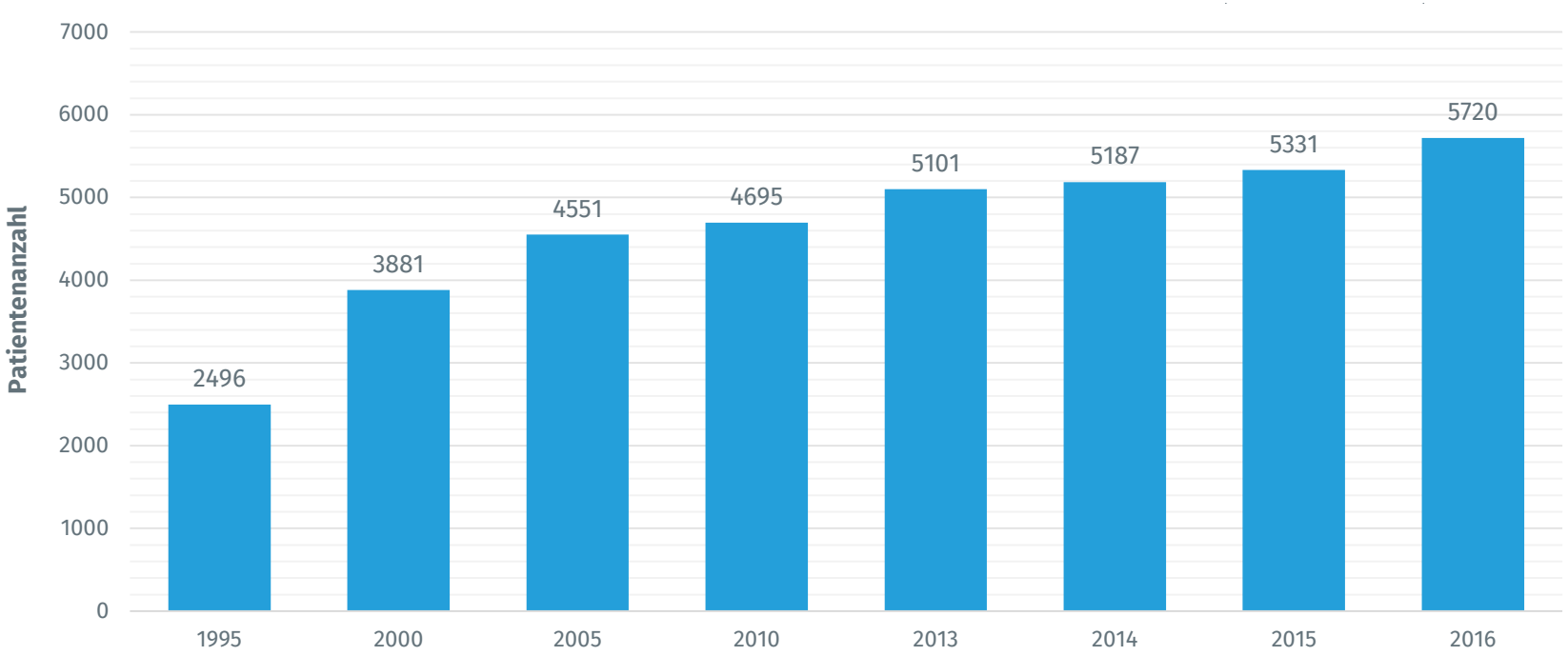
Stand: 01.11.2017



- » 93 Ambulanzen
  - › Ärzte
  - › Dokumentare
- » 5720 Patienten

MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

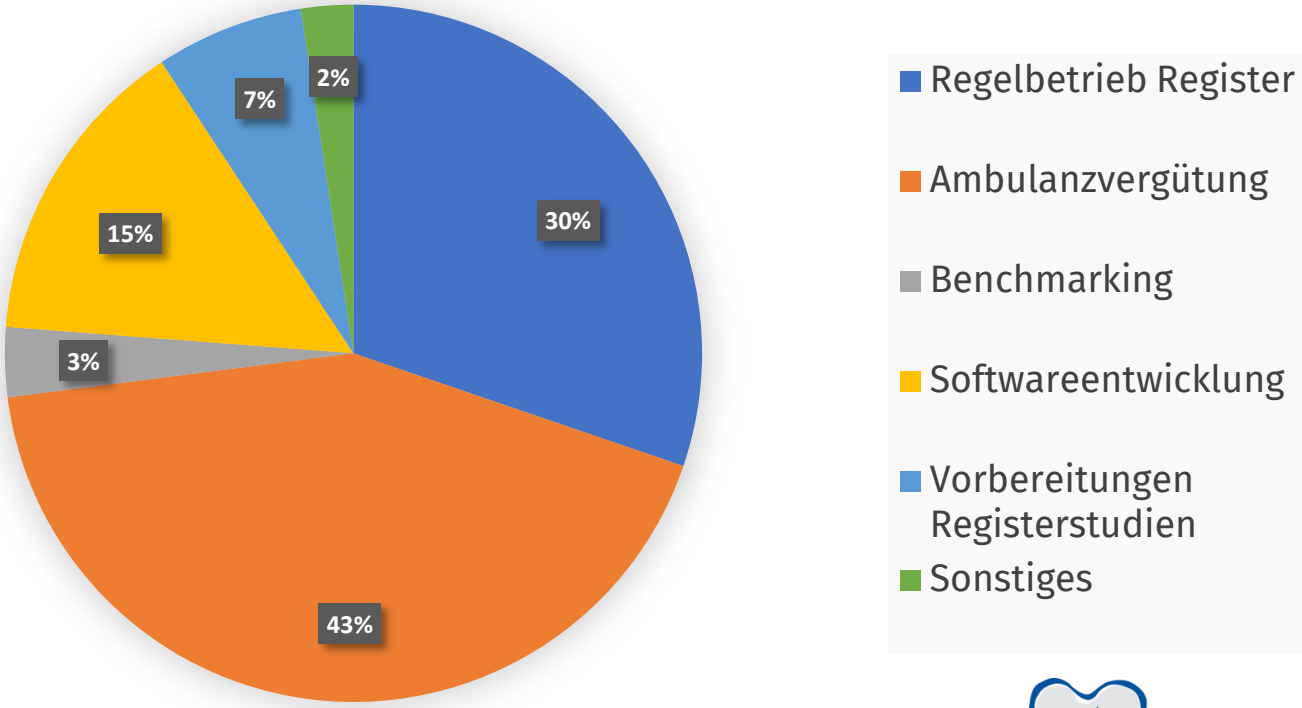
Entwicklung Patientenzahlen 1995-2016



MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

Was passiert im Hintergrund?

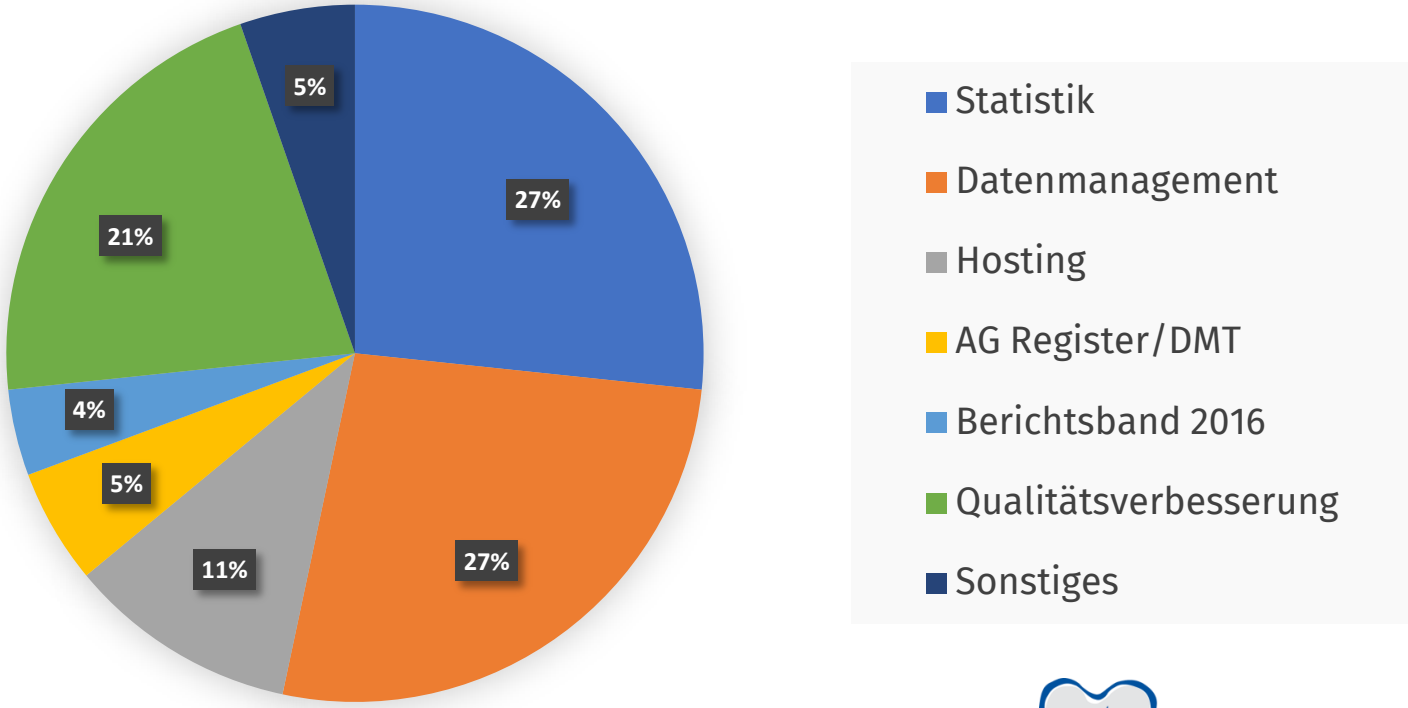
Kostenverteilung 2017



MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

Was passiert im Hintergrund?

z.B. Regelbetrieb Register 2017



MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

Ziele
Schwerpunkte

- Registersoftware MUKO.web – Cockpit für Ambulanzen
- Jährlicher wissenschaftlicher Berichtsband
- Jährlicher Patientenberichtsband
- Interne und externe wissenschaftliche Auswertungen (Publikationen)
- Benchmarking

MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

Was können Sie vom Register erwarten?

MUKO.web → z.B. Patienten-Schnellstatus

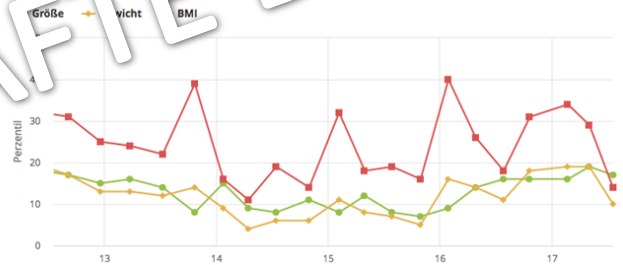
Schnellstatus

Patientenschnellstatus

1. Mutation:	**F508del (p.Phe508del / c.1521_1523delCTT)**	Letzter Besuch:	**18.07.2017 00:00**
2. Mutation:	**G542X (p.Gly542X / c.1624G>T)**	Letzte Hospitalisation:	**13.12.2010 - 16.12.2010**
Transplantationen:	-	Letzte bedarfsorientierte antibiotische Therapie:	**13.12.2010 - 02.01.[illegible]**

Mikrobiologie

Letzte Kultur:	**18.07.2017**			
Zuletzt positiv:	Pseudomonas aeruginosa: -	Pseudomonas aeruginosa (multiresistent): -	Burkholderia spp: -	M[illegible] -



BEISPIELHAFTE DATEN

Aktuelle [illegible]ationen

Pulmonale Komplikationen:	-
Gastrointestinale Komplikationen:	**Pankreasinsuffizienz; Lebererkrankung**
Andere Komplikationen:	-

Letzte Untersuchungen

Lungenfunktion:	**18.07.2017**	Knochendichte:	**nie**	Letzter Kontakt Physiotherapie:	**02.05.2017**
Bildgebung Thorax:	**18.07.2017**	Letzter OGT:	**18.07.2017**	Letzter Kontakt Diätassistentin:	**02.05.2017**
Bildgebung Abdomen:	**18.07.2017**	Letztes Labor:	**18.07.2017**	Letzter Kontakt Psychososzialer Mitarbeiter:	**18.07.2017**

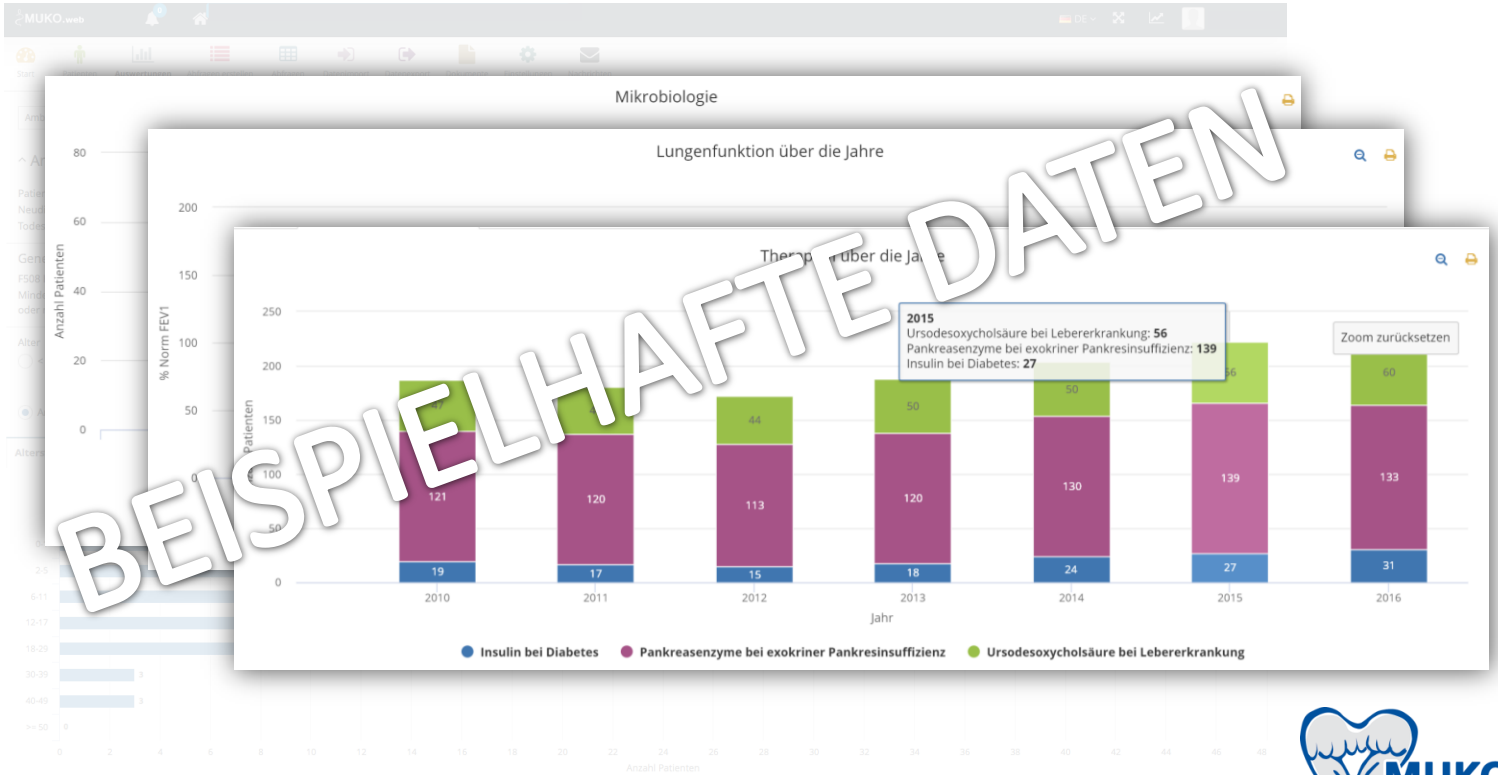
Allergien

-

MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

Was können Sie vom Register erwarten?

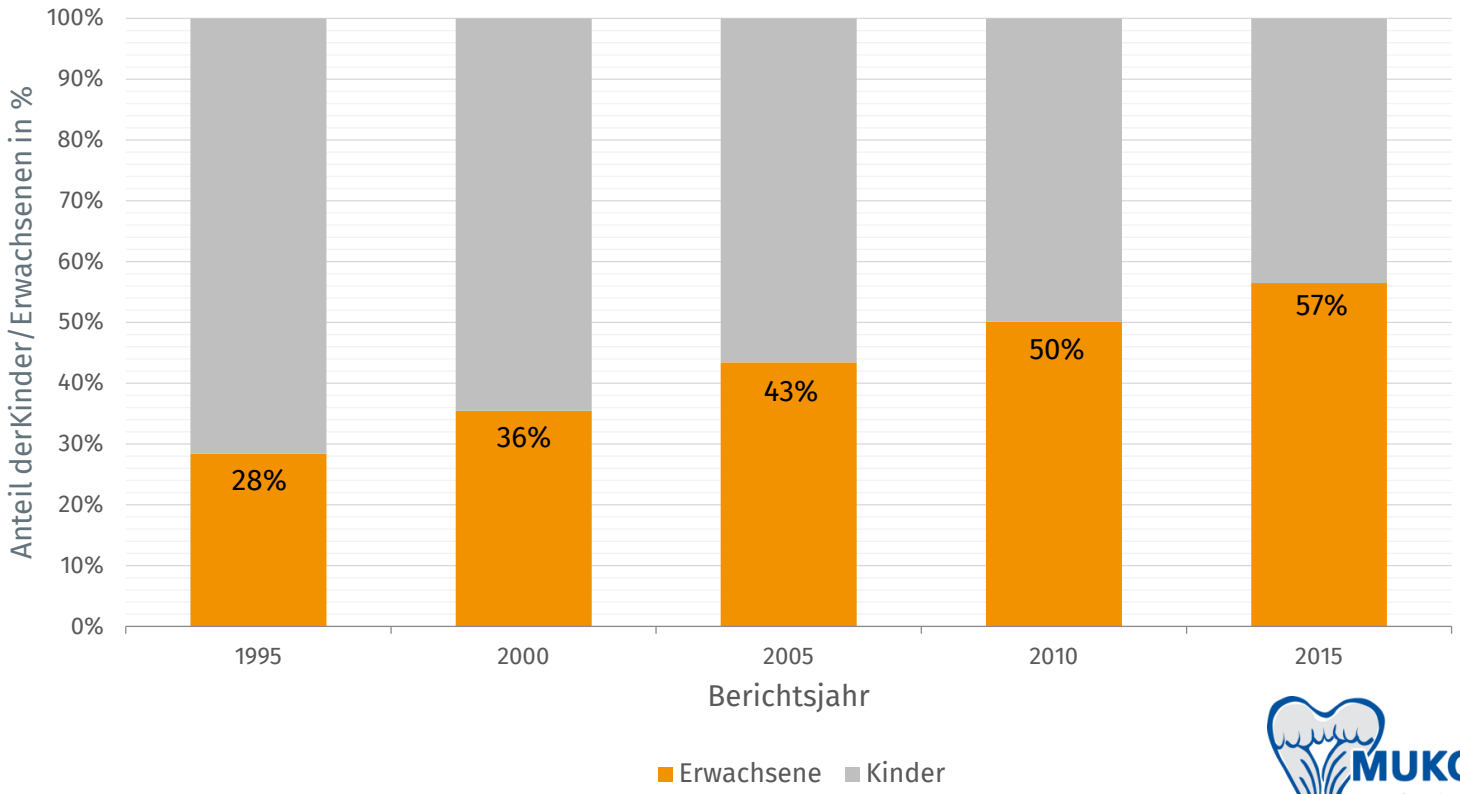
MUKO.web → z.B. Ambulanz-Schnellstatus



MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

Was können Sie vom Register erwarten?

Informationen – z.B. Anteil Patienten ≥18 Jahre



MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

Was passiert im Hintergrund?

Prozess Datenauswertung & Berichtsbanderstellung

Dateneingabe → Ambulanzen

Datenkontrolle → Datenmonitoring

Datenaufbereitung → Datenmanagement

Datenauswertung → Statistik

Darstellung → Texte, Grafiken, Satz & Layout

MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

Was können Sie vom Register erwarten?

Wissenschaftlicher Berichtsband

- » Online: alle Bände seit 1995 verfügbar
- » Veröffentlichung jeweils zur DMT
- » NEU: ab 2015er Band auch Englisch
- » online unter: www.muko.info/berichtsband

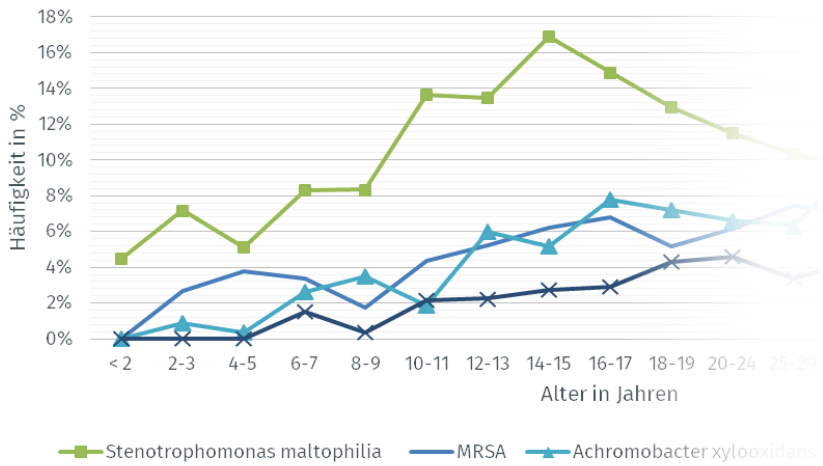
MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

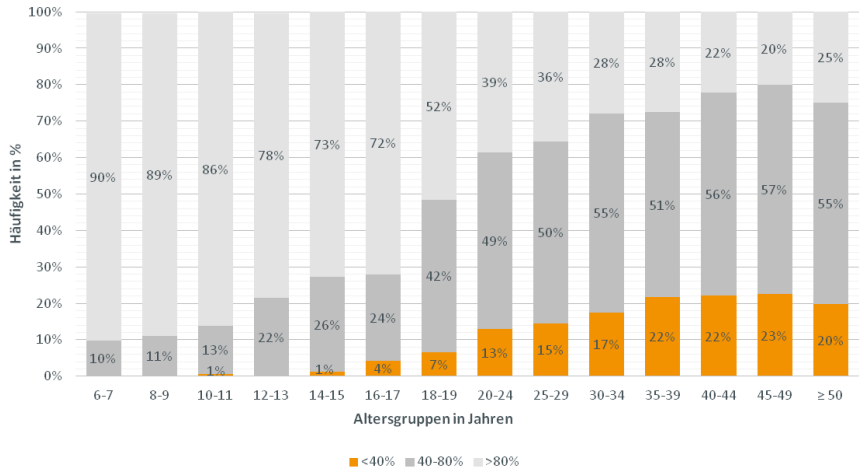
Was können Sie vom Register erwarten?

Wissenschaftlicher Berichtsband

» Überblick über…

- Versorgungsstrukturen
- Gesundheitszustand von Mukoviszidosepatienten





Was können Sie vom Register erwarten?

NEU: Berichtsband für Patienten und Angehörige (05/2017)

Deutsches
Mukoviszidose-Register

Berichtsband für Patienten und Angehörige 2015

W.Bremer, S.Deiters, T.Malenke

MUKOVISZIDOSE e.V.
Helfen. Forschen. Heilen.

- Veröffentlichung jeweils zur Jahrestagung des Mukoviszidose e.V.
- online unter: www.muko.info/berichtsband

MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

Was können Sie vom Register erwarten?

NEU: Berichtsband für Patienten und Angehörige (05/2017)

- Wie leben andere Patienten mit ihrer Mukoviszidose?
- Was kann das für mich bedeuten?
- Was kann ich daraus lernen?

MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

Was können Sie vom Register erwarten?

NEU: Berichtsband für Patienten und Angehörige (05/2017)

2015 beteiligten sich 90 CF-Einrichtungen am Register

52 % Männliche Patienten
48 % Weibliche Patienten

» Kurzübersicht

2005 beteiligten sich 4511 Patienten am Register

2015 beteiligten sich 5331 Patienten am Register

2005: Anteil der Erwachsenen Patienten 43 %

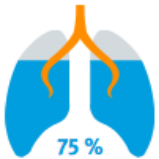
2015: Anteil der Erwachsenen Patienten 57 %

Neudiagnosen 2015: 140

Alter bei Diagnose
2005: 14 Monate
2015: 7 Monate

2005: für 84% liegt eine Genotypisierung vor

2015: für 99% liegt eine Genotypisierung vor



Median FEV1% mit 18 Jahren

Pseudomonas: 31%

MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

Was können Sie vom Register erwarten?

NEU: Berichtsband für Patienten und Angehörige (05/2017)

Wofür steht FEV1?
Der FEV1 ist einer der Messwerte, die bei der Lungenfunktionsmessung gemessen werden. Er beschreibt die Menge an Luft, die eine Person nach einem tiefen Atemzug innerhalb der ersten Sekunde ausatmet.

Wofür steht der FEV1%?
Der FEV1% ist der prozentuale Wert des durchschnittlichen FEV1, den gesunde Menschen des gleichen Alters, Geschlechts und Länge erreichen.

Wofür steht Median?
Der Median (Zentralwert) einer Auflistung von Zahlenwerten ist der Wert, der an der mittleren (zentralen) Stelle steht, wenn man die Werte der Größe nach sortiert.

Bsp.: 0,2,3,4,5,6,7,8,100, = Median ist die 5

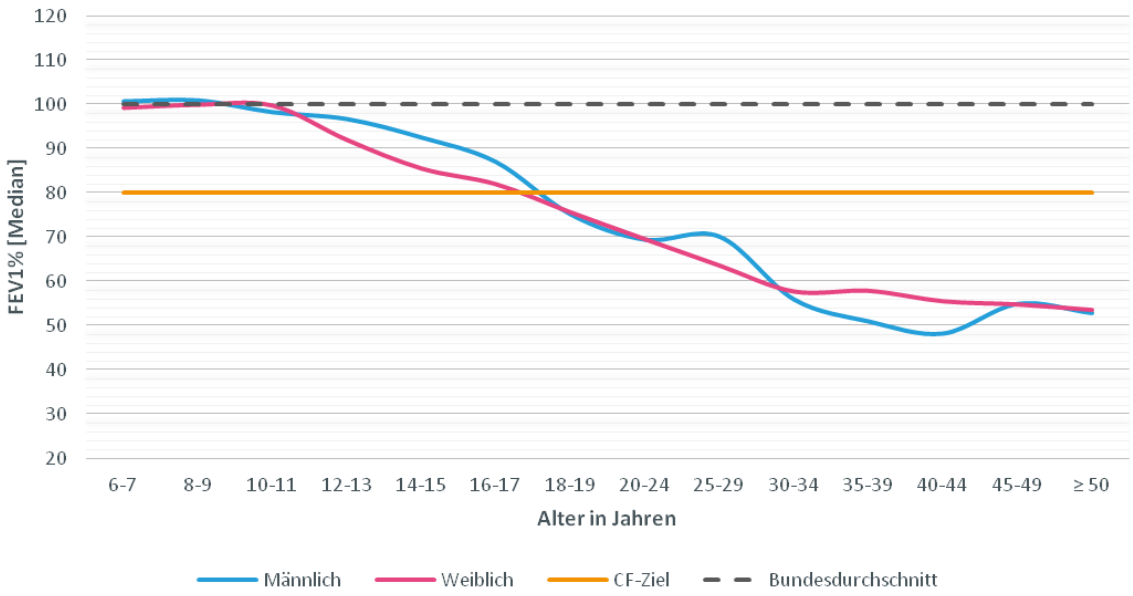
Der Median teilt damit einen Datensatz so in zwei gleich große Hälften, dass die Werte der einen Hälfte kleiner und die Werte der anderen Hälfte größer sind als der Median. Der Median reagiert deshalb weniger empfindlich auf ‚Ausreißer', also stark abweichende Werte, wie der Durchschnitt.

» Infoboxen

MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

Was können Sie vom Register erwarten?

NEU: Berichtsband für Patienten und Angehörige (05/2017)



» FEV1%

MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

Was können Sie vom Register erwarten?

NEU: Berichtsband für Patienten und Angehörige (05/2017)

Wie ist das zu lesen?

Die Grafik zeigt, wie sich der FEV1% in den dargestellten Altersgruppen für Mädchen
den letzten Jahren entwickelt hat. Hierbei ist es wichtig zu verstehen, dass die 100
lichen FEV1% der „gesunden" Gesamtbevölkerung darstellen. Die orangene „Ziel
unter die der FEV1% nicht fallen sollte.

Was heißt das?

- Im Alter zwischen 6 und 10Jahren liegt der Median des FEV1% der CF-Betroffe
  hiermit dem Durchschnittswert der Gesamtbevölkerung.
- Ab 11 Jahren nimmt der Median des FEV1% der CF-Betroffenen ab und liegt im A
  75% und somit bereits 25% unter dem Durchschnittswert der Gesamtbevölkeru
- Ab 18 Jahren verschlechtert sich der Median des FEV1% der CF-Betroffenen weite
  ren bei 55%. Das heißt: In diesem Alter liegt der durchschnittliche FEV1% bereits
  Gesamtbevölkerung.

Was bedeutet das für mich?

Es ist sehr wichtig, die Therapiemöglichkeiten (Medikamente, Sport & Physiothe
vollumfänglich auszuschöpfen und konsequent zu verfolgen. Verlorene FEV1% We
wieder herstellbar und begleiten die Betroffenen ein Leben lang. Je besser der FEV1
troffene.

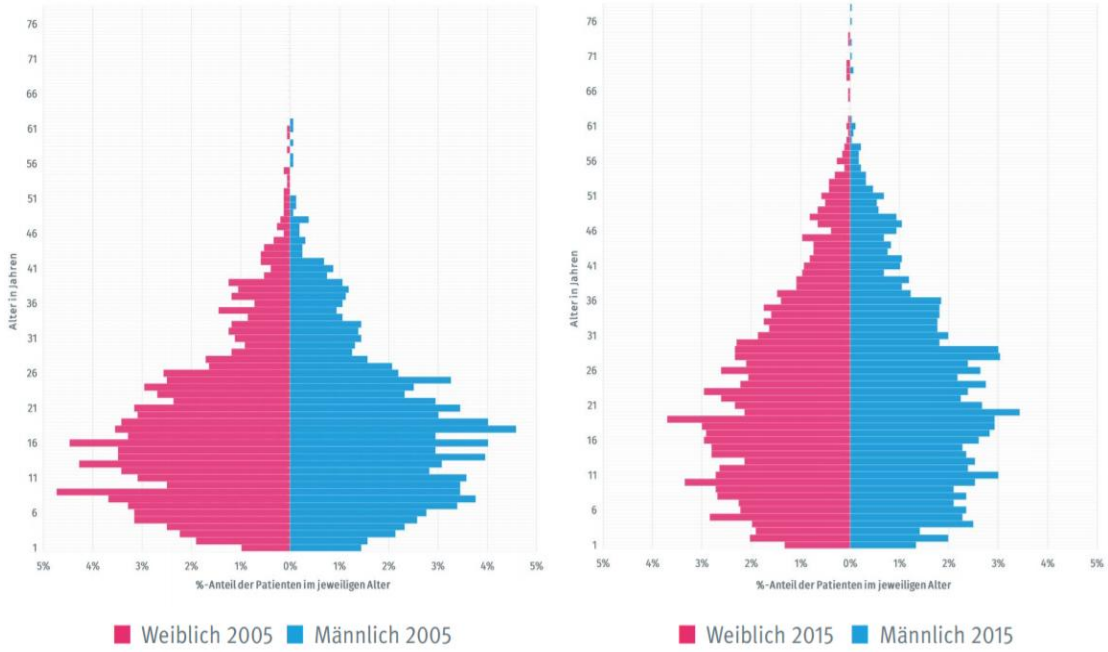
» Erklärende Texte

» Interpretationshilfen

MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

Was können Sie vom Register erwarten?

NEU: Berichtsband für Patienten und Angehörige (05/2017)



» Altersverteilung im Jahresvergleich

MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

Berichtsbände

Ab sofort online unter:

www.muko.info/berichtsband

MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

Was können Sie vom Register erwarten?

Auswertungen 2018

- Sonderauswertungen
- Wissenschaftliche Publikationen
- Beteiligung an wissenschaftlichen Kooperationen
- ECFS-PR Beteiligung

MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

Datenqualität und Transparenz von Registern sicherstellen (1)

universität Witten/Herdecke

- die Unabhängigkeit, Qualität, Vollständigkeit und Nachhaltigkeit von Registern muss gewährleistet sein
- Bei gesetzlich nicht-verbindlichen Registern > Rechtsrahmen durch Gesetzgeber nötig (Datenschutz, Modelle zur anteiligen Finanzierung durch Kassen, Leistungserbringer und Hersteller)
- Vollständige Erfassung aller betroffenen Patienten auf der Bevölkerungsebene geht nur durch verbindliche Teilnahme der Leistungserbringer und aktive Beteiligung der Kostenträger (Kopplung der Registerführung an die Vergütung)
- Bewertung von Registerdaten und Registerführung durch Einrichtung einer Clearing-Stelle nach internationalem Vorbild (z.B. Schweden) ; Verknüpfung mit internationalen Registern anstreben

Register: Anforderungen aus Sicht des Deutschen Netzwerks für Versorgungsforschung (DNVF)
http://www.tmf-ev.de/DesktopModules/Bring2mind/DMX/Download.aspx?Method=attachment&Command=Core_Download&EntryId=11727&PortalId=0

Institut für Forschung in der Operativen Medizin IFOM

CERT ISO 9001

MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH

ÄrzteZeitung

Print
App
Newsletter

Politik | Krankheiten | Fachbereiche | Praxis & Wirtschaft | Panorama

Sie befinden sich hier: Home » Politik » Arzneimittelpolitik

Ärzte Zeitung online, 10.10.2017

Kommentieren (0)

Orphan Drugs

GBA-Chef Hecken fordert Neuregelungen

Daten aus der Versorgung mit Orphan Drugs sollen verpflichtend in Registern erfasst werden.

BERLIN. Eine gesetzliche Neuregelung für die Nutzenbewertung von Arzneimitteln bei seltenen Erkrankungen fordert der Vorsitzende des Gemeinsamen Bundesausschusses (GBA) Professor Josef Hecken. Daten aus der Versorgung mit diesen sogenannten Orphan Drugs sollen demnach künftig verpflichtend in Registern gemeldet werden.

https://www.aerztezeitung.de/politik_gesellschaft/arzneimittelpolitik/article/944882/orphan-drugs-gba-chef-hecken-fordert-neuregelungen.html

PATIENTENREGISTER FÜR DIE NUTZENBEWERTUNG

Kein Ersatz für randomisierte Studien

Patientenregister-Daten sind für die Klärung von Ursache-Wirkungs-Zusammenhängen und somit für die Nutzenbewertung ungeeignet. Ihre sonst unstrittigen Potenziale erfüllen sich nur bei Ausschöpfung anspruchsvoller Qualitätsanforderungen.

Jürgen Windeler, Jörg Lauterberg, Beate Wieseler, Stefan Sauerland, Stefan Lange

Dtsch Arztebl 2017; 114(16): A-783 / B-662 / C-648
Windeler, Jürgen; Lauterberg, Jörg; Wieseler, Beate; Sauerland, Stefan

Danke!

MUKOVISZIDOSE
Mukoviszidose Institut gGmbH