

vfa-Positionspapier

Register im AMNOG: sinnvolle Ergänzung in besonderen Therapiesituationen

Randomisierte kontrollierte Studien (RCT) stellen derzeit den Goldstandard der Bewertung des Nutzen-Risiko-Verhältnisses im Rahmen der Zulassung dar. Es gibt jedoch Konstellationen, in denen aus methodischer und ethischer Sicht die Durchführung von RCT nicht möglich bzw. nicht angemessen ist. Dies kann in besonderen Therapiesituationen der Fall sein, wenn z. B. eine Erkrankung selten ist, vulnerable Patientengruppen betroffen sind oder ein hoher medizinischer Bedarf mit mangelnden Therapiealternativen besteht. Diese besonderen Situationen erfordern häufig maßgeschneiderte Zulassungsverfahren. Das AMNOG-Verfahren sollte diese Entwicklung auf Zulassungsebene angemessen reflektieren. Allerdings darf die Diskussion über Registerdaten nicht mit dem Ruf nach Zentrenbildung und einer Einschränkung der Verordnungsfähigkeit neuer Medikamente verknüpft werden, bei der Patientenrechte eingeschränkt werden.

Stellenwert von Registerdaten in der Zulassung steigt

Register dienen der systematischen Beobachtung bzw. Dokumentation des Therapieverhaltens unter Alltagsbedingungen. Sie können Abschätzungen zur Wirksamkeit und Sicherheit von Medikamenten liefern. Registerdaten können somit Evidenz von RCTs sinnvoll ergänzen. In Situationen, in denen die Durchführung von RCT unmöglich ist, können Registerdaten die bestmögliche Form der Evidenz darstellen und die Evidenzlücke füllen. Registerdaten können damit potenziell sowohl Bestandteil der Zulassung wie auch sinnvolle Ergänzung zur Zulassungsevidenz sein, die als Auflage im Anschluss erhoben werden muss (Post-Marketing-Evidenz).

Registeranforderungen gemeinsam definieren

Die langfristige Etablierung von Registern und Erhebung von Registerdaten ist anspruchsvoll, ressourcenintensiv und finanziell sehr aufwendig. Zudem ist nicht für jede Fragestellung eine Registerstudie sinnvoll bzw. notwendig. Ob Registerstudien durchgeführt werden müssen und welche Qualitätsanforderungen sie zu erfüllen haben, sollte der Hersteller deshalb gemeinsam mit den europäischen Behörden im Zulassungsprozess entscheiden. Der G-BA sollte dabei im Rahmen gemeinsamer Beratungen auf europäischer Ebene eingebunden werden, um mögliche Anforderungen von Zulassung bzw. Nutzenbewertung zu harmonisieren.

Registerdaten im AMNOG-Verfahren berücksichtigen

Seite 2/2

In Zukunft ist mit einem höheren Stellenwert von Registerdaten im Zulassungsprozess von Medikamenten in besonderen Therapiesituationen zu rechnen. Dieser Entwicklung gilt es auch im AMNOG gerecht zu werden: Registerdaten sollten in diesen Situationen als bestverfügbare Evidenz in der frühen Nutzenbewertung akzeptiert werden. Die methodischen und qualitativen Anforderungen des G-BA sollten sich dabei an denen der europäischen Zulassungsbehörden orientieren. Die grundsätzliche Eignung der Registerdaten für die frühe Nutzenbewertung darf nicht in Frage gestellt werden. Gemeinsame Beratungen auf europäischer Ebene können den Weg in die beidseitige Anerkennung der Daten ebnen. Sollten Registerdaten seitens des G-BA im Rahmen einer Befristung beauftragt werden, gilt es auch hier diese mit den europäischen Auflagen der Zulassungsbehörden zu harmonisieren.

Keine Verordnungsbeschränkung auf Zentren mit Registern

Die Erhebung ergänzender Registerdaten darf nicht an Einschränkungen des Marktzugangs gekoppelt werden. Gesetzliche Neuregelungen für besondere Therapiesituationen, die eine ergänzende Evidenzgenerierung unter Einschränkung der Verordnungsfähigkeit auf Zentren mit Registerstruktur vorsehen, sind abzulehnen. Eine ergänzende Evidenzgenerierung ist auch ohne Verordnungsbeschränkung auf Zentren machbar. Medikamente für besondere Therapiesituationen müssen auch für Patienten verfügbar bleiben, die außerhalb eines Registers behandelt werden.

Keine verstetigte Nutzenbewertung mit Registerdaten

Die potenzielle Verfügbarkeit von Registerdaten darf nicht mit Forderungen nach einer wiederkehrenden „späten“ Nutzenbewertung verknüpft werden. Eine späte Nutzenbewertung einige Jahre nach Markteinführung auf Grundlage von Daten aus der Versorgung, wie sie von einigen Seiten gefordert wird, hat keine rechtliche Grundlage und widerspricht der Intention des AMNOG, Preise auf Grundlage des Zusatznutzens bei Markteintritt zu regulieren. Es wäre nicht vertretbar, den sehr aufwendigen Prozess einer Nutzenbewertung zu einem späteren Zeitpunkt regelhaft zu wiederholen.

9. November 2017