

# ATMP-Register: Evidenz generieren und anerkennen

Arzneimittel für neuartige Therapien (Advanced Therapy Medicinal Products, ATMP) wie Gen- und Zelltherapien eröffnen Menschen mit schweren, oft seltenen Erkrankungen neue Behandlungsoptionen, teilweise mit Aussicht auf langfristige Krankheitskontrolle oder Heilung. Gleichzeitig ist die Evidenzgenerierung anspruchsvoll, wenn die Zulassungsevidenz den Anforderungen der Nutzenbewertung nicht genügt und bislang zur Auflage einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung führte. Es besteht die Chance, die Dateninfrastruktur so zu gestalten, dass sie Versorgung und Forschung voranbringt. Ein ATMP-Register muss lernende Infrastruktur für Evidenzgenerierung sein: praxistauglich, qualitätsgesichert und interoperabel – ohne zusätzliche Bürokratie zu schaffen.

## Warum ein ATMP-Register sinnvoll ausgestaltet werden muss

ATMP stellen häufig besondere Anforderungen an die Evidenzgenerierung: Patientengruppen sind klein, randomisierte Studien oftmals nicht durchführbar und Langzeitbeobachtungen besonders wichtig. Wo klassische Studiendesigns an Grenzen stoßen, braucht es einen Ansatz, der Lernen aus der Versorgung systematisch ermöglicht, ohne die Versorgung auszubremsen. Ein ATMP-Register kann evidenzbasierte Entscheidungen verbessern, Versorgung transparenter machen und zugleich Planbarkeit schaffen: für Patient:innen, für Behandler:innen, für Wissenschaft und für weitere Akteure im Gesundheitssystem.

Zentral ist dabei das Verständnis des Registers als Infrastruktur: es geht um verlässliche Evidenzgenerierung im Versorgungsalltag, insbesondere zu Langzeitwirkung und Sicherheit. Das Register muss so gestaltet sein, dass die Datenerhebung in Zentren und Kliniken umsetzbar ist. Es sollte sichergestellt werden, dass auf Basis der jeweiligen Fragestellung, wie z. B. im Rahmen der

Nutzenbewertung, zielgerichtet Daten generiert werden können. Datenerhebung darf nicht zum Selbstzweck werden. Hierfür braucht es eine Methodenoffenheit, die realistisch die Machbarkeit und Aussagesicherheit berücksichtigt.

## Doppelstrukturen vermeiden

Damit das ATMP-Register ein Erfolg wird, braucht es eine anschlussfähige Lösung, die vorhandene Strukturen konsequent integriert und mit dem entstehenden Europäischen Gesundheitsdatenraum (EHDS) harmonisiert ist. Parallelwelten kosten Zeit und Geld, führen zu Datenbrüchen und schwächen die Akzeptanz in Versorgung und Forschung. Der Aufbau muss daher einheitliche Standards, klare Schnittstellen und einen Betrieb, der nachhaltige Qualität sichert, berücksichtigen.

Dieser Anspruch ist nicht technokratisch, sondern unmittelbar versorgungsrelevant. Nur wenn die Infrastruktur gebündelt wird, lässt sich das Potenzial moderner Datenarchitekturen ausschöpfen und nur dann entsteht ein Mehrwert, der die zusätzliche Dokumentation rechtfertigt.

Dabei muss nicht bei null begonnen werden: das Medizinforschungsgesetz sieht vor, dass das Bundesministerium für Gesundheit (BMG) bis zum 31. Dezember 2027 ein Konzept zur Schaffung eines Registers für ATMP im Geschäftsbereich des BMG vorlegt. Daran sollte direkt angeknüpft werden, indem die in INTEGRATE-ATMP entwickelten Registerbausteine und die bereits aufgebaute Betreiber- und Governance-Struktur (Registerverschein) in eine dauerhafte, perspektivisch an den EHDS anchlussfähige Registerlösung überführt werden.

### Klare Rollen, Qualität und wissenschaftliche Auswertung

Im ATMP-Register müssen Versorgung, Wissenschaft und Forschungskompetenz zusammenwirken. Dazu gehört ein klarer Qualitätsrahmen (Plausibilitäts- und Vollständigkeit, interoperable Standards) ebenso wie ein wissenschaftlich belastbares Auswertungskonzept. Dabei ist sicherzustellen, dass neben öffentlichen Institutionen und der akademischen Forschung auch pharmazeutische Unternehmen mit eigenen wissenschaftlichen Fragestellungen angemessen eingebunden sind und diskriminierungsfreie, transparente Zugangsregeln bestehen. Die Forschungskompetenz der Unternehmen ist ein zentraler Erfolgsfaktor: Studienunterlagen wie Studienprotokoll und statistischer Analyseplan sollten vorab festgelegt werden, damit klar ist, welche Fragestellungen beantwortet werden sollen und wie Auswertungen erfolgen. Die pharmazeutische Industrie sollte daher auch beim Aufbau und der Weiterentwicklung des Registers aktiv eingebunden werden. Es braucht eine strukturierte Einbindung der wissenschaftlichen Expertise in einem Beirat, der den Diskurs um Machbarkeit, Datensatz, akzeptierte Endpunkte und Auswertungslogik begleitet und damit Transparenz und Anschlussfähigkeit stärkt.

Für die Governance bietet sich eine zentrale Registerstelle an, die Aufbau, Betrieb und Qualitätssicherung verantwortet und die Umsetzung in der Versorgung unterstützt. Der jüngst geschaffene Verein Nationales Gen- und Zelltherapieregister Deutschland e.V. kann hierbei eine sinnvolle Rolle übernehmen, etwa als Betreiberorganisation. Entscheidend ist, dass Zuständigkeiten eindeutig sind und Prozesse verlässlich funktionieren.

### Mehrwert für die Nutzenbewertung

Das ATMP-Register kann die Grundlage für einen neuen Umgang mit Registerdaten im AMNOG sein. Die anwendungsbegleitende Datenerhebung (AbD) sollte ursprünglich helfen, ergänzende Evidenz zum Nutzen und Schaden eines Medikamentes zu generieren, wenn zum Zeitpunkt der frühen Nutzenbewertung noch nicht ausreichend Informationen vorliegen. In der Praxis zeigen sich jedoch erhebliche Limitationen. Nicht, weil Versorgungsdaten grundsätzlich ungeeignet seien, sondern weil Hürden in der Umsetzung bestehen. Typische Bruchstellen sind bekannt: methodische Anforderungen, die nicht zur Versorgungsrealität passen, Vergleichstherapien, die in der Praxis nicht (mehr) genutzt werden, sowie erhebliche Zusatzdokumentation in Zentren und Kliniken. Die zusätzliche Datenerhebung im Rahmen der AbD wird somit zur bürokratischen Belastung, oft ohne Mehrwert für die Versorgung und Nutzenbewertung.

Genau hier liegt eine Stärke des ATMP-Registers: Es setzt nicht auf Einzellösungen, sondern auf eine lernende Infrastruktur, die planbar und zielgerichtet Evidenz generieren kann. Beauftragungen zur Erhebung versorgungsnaher Daten durch den Gemeinsamen Bundesausschuss könnten somit auf ATMP fokussiert werden, da gerade hier randomisierte Studien oftmals nicht durchführbar und Langzeitbeobachtungen besonders wichtig sind. In solchen Fällen, wenn keine randomisierte Studie läuft und – analog zum Instrument der AbD – ein Zusatznutzen formal nicht belegt oder nicht quantifizierbar ist, kann eine strukturierte, versorgungsnaher Datenerhebung im ATMP-Register zum Zweck der Nutzenbewertung beauftragt werden. Die erhobenen Daten sind dann auch in der Nutzenbewertung heranzuziehen, die Quantifizierung des Zusatznutzens bleibt weiterhin das zentrale Ziel. Was unbedingt vermieden werden muss, ist ein weiterer Sanktionsmechanismus mit unerfüllbaren Auflagen.

### Der entscheidende Hebel: methodische Reformen, damit Registerdaten zählen

Versorgungsdaten sind nicht identisch mit Daten aus randomisierten Studien. Wer sie nach denselben Maßstäben behandelt, erzeugt häufig unerfüllbare Anforderungen, insbesondere bei kleinen Populationen. Dies kann dazu führen, dass

umfangreiche Datenerhebungen ohne zusätzlichen Nutzen durchgeführt werden und sich die Probleme der AbD in modifizierter Form widerspiegeln. Daher braucht es eine Modernisierung der Bewertungsmaßstäbe für Versorgungsdaten: Anforderungen an Adjustierung, Effektgrößen und methodische Hürden müssen so gestaltet sein, dass sie in kleinen Kollektiven und unter den gegebenen individuellen Umständen umsetzbar sind und bestverfügbare Evidenz aus der Versorgung nicht systematisch entwertet wird. Nur wenn Registerdaten in der Nutzenbewertung tatsächlich berücksichtigt werden, entsteht ein fairer Ausgleich zwischen Aufwand in der Versorgung und Erkenntnisgewinn für das System.

### **Dauerhaft tragfähige Finanzierung**

Ein ATMP-Register benötigt als Infrastruktur eine verlässliche Finanzierung. Für den Aufbau bedarf

es einer Anschubfinanzierung durch den Bund. Der laufende Betrieb des ATMP-Registers ist durch die gesetzliche Krankenversicherung, bspw. über fallbezogene Pauschalen und Meldevergütungen, sowie durch die Datennutzenden über zweckgebundene Entgelte, zu finanzieren.

### **Chance für Versorgung und Innovation**

Mit dem ATMP-Register kann Deutschland die Evidenzgenerierung für neuartige Therapien verbessern und deren Nutzen in der Versorgung besser erschließen. Damit würde das im Medizinforschungsgesetz angelegte Ziel umgesetzt, Wissenslücken zu verringern und Patient:innen einen schnellen und verlässlichen Zugang zu neuen Behandlungsoptionen zu sichern.

#### **Was jetzt zu tun ist**

Mit dem gesetzlichen Auftrag zur Konzepterstellung für ein ATMP-Register im Rahmen des Medizinforschungsgesetzes wurde bereits der Schritt zu einer verstetigten Infrastruktur beabsichtigt. Für die Umsetzung bedeutet dies:

- Investitionen in den Aufbau des ATMP-Registers,
- Beleihung einer Institution als Registerstelle durch das BMG (z.B. den Verein Nationales Gen- und Zelltherapieregister Deutschland e.V.),
- klare und verlässliche Regeln für Betrieb, Finanzierung und Datenzugang,
- Weiterentwicklung der Strukturen unter Einbeziehung der Expertise der Industrie sowie
- methodische Anpassungen, damit die Registerdaten in Nutzenbewertungen verwertbar sind.

Anschließend können Datenerhebungen zum Zweck der Nutzenbewertung im ATMP-Register für geeignete Fälle – wenn keine randomisierte Studie läuft und ein Zusatznutzen nicht belegt oder nicht quantifizierbar ist – beauftragt werden. Diese Beauftragungen zur Datenerhebung können die kaum funktionale AbD ersetzen. Die erhobenen Daten sind entsprechend in der Nutzenbewertung heranzuziehen, die Quantifizierung des Zusatznutzen bleibt weiterhin das zentrale Ziel.

Fragestellungen zur konkreten Umsetzung sollten dabei im Austausch zwischen den Beteiligten schrittweise präzisiert und geklärt werden. So kann ein lernendes System entstehen, das Innovation ermöglicht, weitere Evidenz schafft und Patient:innen schnell und sicher Zugang zu neuen Therapien eröffnet.