



## Stellungnahme zum Entwurf für ein

# Gesetz für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung – GSAV

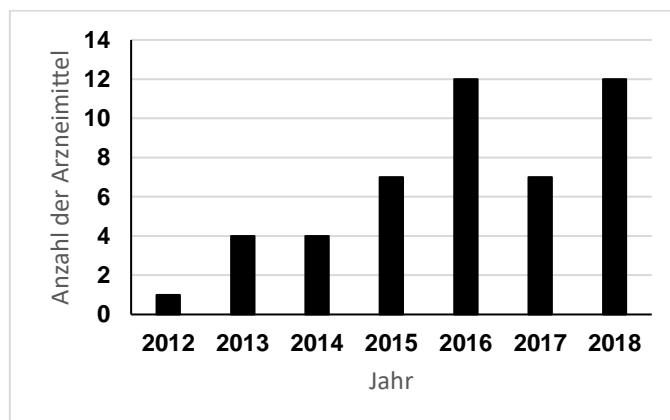
## Wichtiger erster Schritt zu umfassender wissensgenerierender Versorgung

### 1. Zusammenfassung

Das geplante Gesetz für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung (GSAV) sieht vor, dass der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) zukünftig die Durchführung anwendungsbegleitender Beobachtungen bei neuen Arzneimitteln zur Behandlung seltener Leiden, bei bedingten Zulassungen oder bei Zulassungen unter außergewöhnlichen Umständen in seinen Festlegungen fordern kann. In der öffentlichen Anhörung zum Gesetzesentwurf am 10. April 2019 wurde Kritik an dieser Erweiterung der frühen Nutzenbewertung neuer Arzneimittel geäußert.

In der Hämatologie und medizinischen Onkologie werden überdurchschnittlich viele, neue Arzneimittel unter besonderen Umständen zugelassen [1, 2]. Die Anzahl von Verfahren mit einem Orphan-Drug-Status ist in der Abbildung dargestellt.

Abbildung: Neue Arzneimittel mit Orphan-Drug-Status in der Hämatologie und medizinischen Onkologie



Wir begrüßen die geplanten Änderungen uneingeschränkt. Die neuen Regelungen bieten die Chance, zusätzliche Daten zur Wirksamkeit und Sicherheit bei solchen Arzneimitteln zu generieren, deren Zulassungsgrundlage auf geringer Evidenz beruht. Hier besteht großer Bedarf an zusätzlichen Informationen aus der praktischen Versorgung. Wir sehen diese Datenerhebung als ersten Schritt zu einer umfassenden, wissensgenerierenden Versorgung, bei der aus der aktuellen Anwendung neue Erkenntnisse zum zukünftigen Einsatz der Arzneimittel gewonnen werden können. Eine solche Wissensbasis bietet große Chancen für den Wissenschaftsstandort Deutschland, den Wirtschaftsstandort Deutschland, die Kostenträger, die pharmazeutische Industrie, die medizinische und pharmazeutische Forschung, sowie ganz praktisch für jeden nachfolgenden Patienten.

Die Diskussionen der letzten Wochen und Monate haben einige kritische Punkte identifiziert, die zur nachhaltigen Etablierung solcher Register und zur Sicherung der Nutzung der gewonnenen Daten erfüllt sein müssen:

1. hohe Qualität der Dokumentation mit Begrenzung auf die nutzenrelevanten Parameter
2. Schnittstellen mit anderen Registern, auch auf EU-Ebene
3. ausreichend lange Nachbeobachtungszeiten
4. Teilnahme an anwendungsbegleitenden Beobachtungen als Qualitätsmerkmal für Zentren/Praxen
5. Erweiterung der akzeptierten Methodik der Nutzenbewertung zum Vergleich von Kohorten

1. Hohe Qualität der Dokumentation mit Begrenzung auf die nutzenrelevanten Parameter

Ein zentrales Element zur Nutzung der anwendungsbegleitenden Dokumentation und der generierten Daten ist die Vergleichbarkeit mit den Daten der Zulassungsstudie. Ein solcher Vergleich kann sowohl die Erfassung von laborchemischen und bildgebenden Parametern als auch von Patienten-berichteten Endpunkten beinhalten, die nicht Gegenstand der Routineversorgung sind.

**Forderung:** Bei der Entscheidung des Gemeinsamen Bundesausschusses (G-BA) zur anwendungsbegleitenden Dokumentation ist festzulegen, welche Parameter für eine Neubewertung erforderlich sind. Das beinhaltet auch die Festlegung der relevanten Endpunkte für die Neubewertung.

2. Schnittstellen mit anderen Registern, auch auf EU-Ebene

Dokumentation ist bereits jetzt in vielen medizinischen Bereichen etabliert. Allerdings werden Daten oft mehrfach erhoben. Das führt zu unnötigen Kosten, zu hoher Arbeitsunzufriedenheit der Betroffenen und kann die Bereitschaft zur Teilnahme an einer anwendungsbegleitenden Dokumentation senken. Gleichzeitig gibt es Erkrankungen und Indikationen, die auch in Deutschland so selten sind, dass eine allein nationale Datenerhebung nicht zielführend ist.

Ein mögliches, koordiniertes Vorgehen mit anderen Registern wird gerade bei den ersten, im August 2018 zugelassenen CAR-T-Zellprodukte erprobt. Die EMA hat die weitere Dokumentation im Zulassungsbeschluss festgeschrieben. Ende Februar 2019 wurde eine Vereinbarung mit dem European Bone Marrow Transplantation Registry (EBMTR) für diese Dokumentation geschlossen [3]. Das EBMTR hat eine Schnittstelle zum deutschen Register für Stammzelltransplantationen (DRST). So können kooperative Strukturen aussehen.

**Forderung:** Hinweis auf Nutzung von Schnittstellen zu anderen Registern mit der erforderlichen Qualität

3. Ausreichend lange Nachbeobachtungszeiten

Die jetzt diskutierte Regelung mit jährlichen Fristen erscheint zu kurz. Allein die Etablierung von Registern im deutschen Verwaltungskontext mit Berücksichtigung aller Regelungen des Datenschutzes etc. ist zeitaufwändig. Insbesondere sind aber viele Endpunkte nicht kurzfristig zu beurteilen. Das betrifft den Endpunkt Gesamtüberlebenszeit, aber auch wichtige Endpunkte wie Langzeittoxizität und Interaktion mit anderen Arzneimitteln.

**Forderung:** Flexible statt fixe (z. B. jährliche) Nachbeobachtungszeiten

4. Teilnahme an anwendungsbegleitenden Beobachtungen als Qualitätsmerkmal für Zentren/Praxen

In den Diskussionen wurde die verpflichtende Teilnahme an Registern für Ärzte und Patienten kritisiert. Seitens der Patienten haben wir diese Sorge nicht. Der großen Mehrheit der Patienten mit Blut- oder Krebskrankheiten ist bewusst, dass sie in Deutschland in einer privilegierten Situation mit der raschen Verfügbarkeit sehr teurer Arzneimittel sind. Sie sind ohne spürbare Zurückhaltung bereit, sich an Studien und Registern zu beteiligen.

Das Netzwerk der Zentren und Praxen muss flächendeckend sein, um in der Versorgung ein Stadt-Land-Gefälle und eine Diskriminierung älterer Patienten zu vermeiden. Gerade in der Onkologie steigt der Anteil alter Patienten rasch an. Viele sind in gutem Allgemeinzustand und haben eine Krebs-unabhängige Lebenserwartung, die den Einsatz neuer Arzneimittel rechtfertigt.

Die Versorgung vieler Patienten mit seltenen Erkrankungen wird durch spezialisierte Zentren, aber auch durch einzelne, engagierte Spezialisten gewährleistet. Die Bereitschaft zur Teilnahme an anwendungsbegleitenden Beobachtungen für neue Arzneimittel und die Erfüllung der technischen Voraussetzungen soll das Kriterium sein, um neue Arzneimittel zu verordnen.

**Forderung:** Umsetzung der im Referentenentwurf vorgeschlagenen Regelung, ohne weitere Einschränkungen

#### 5. Erweiterung der akzeptierten Methodik der Nutzenbewertung auf den Vergleich von Kohorten

In bisherigen Verfahren der frühen Nutzenbewertung wurden Registerdaten aus Deutschland nicht bei der Festlegung berücksichtigt. Hier ist eine Auswertung der vom G-BA akzeptierten Methodik der frühen Nutzenbewertung erforderlich. Konkret müssen die bereits existierenden Methoden für Kohortenvergleiche angewandt werden.

**Forderung:** Aktualisierung der Methodenpapiere

#### 6. Referenzen

1. Frühe Nutzenbewertung neuer Arzneimittel in Deutschland 2011-2018. Gerechtigkeit und Nachhaltigkeit (Gesundheitspolitische Schriftenreihe Band 13), 2019, im Druck.
2. Frühe Nutzenbewertung neuer Arzneimittel in der Onkologie und Hämatologie - 2011 – 2016 Analysen und Impulse (Gesundheitspolitische Schriftenreihe Band 10), 2017. [https://www.dgho.de/publikationen/schriftenreihen/fruehe-nutzenbewertung/dgho\\_gpsr\\_X.pdf](https://www.dgho.de/publikationen/schriftenreihen/fruehe-nutzenbewertung/dgho_gpsr_X.pdf)
3. [https://www.ema.europa.eu/documents/scientific-guideline/qualification-opinion-cellular-therapy-module-european-society-blood-marrow-transplantation-ebmt\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/documents/scientific-guideline/qualification-opinion-cellular-therapy-module-european-society-blood-marrow-transplantation-ebmt_en.pdf)
4. Gegenwart und Zukunft der medizinischen Onkologie, 2018. [https://www.dgho.de/d-g-h-o/ueber-uns/aufgaben-ziele/dgho\\_positionspapier\\_6-2018\\_web.pdf](https://www.dgho.de/d-g-h-o/ueber-uns/aufgaben-ziele/dgho_positionspapier_6-2018_web.pdf)

Der vorgelegte Referentenentwurf erfüllt die Forderung nach Förderung wissensgenerierender Versorgung, einem der Kernthemen der Dekade gegen den Krebs. Wir begrüßen die beginnende Kongruenz der wissenschaftspolitischen und der gesetzgeberischen Maßnahmen und bitten um Berücksichtigung der Anmerkungen zur Sicherung der Nachhaltigkeit der Regelungen. Gleichzeitig stehen wir für Rückfragen und Diskussionen jederzeit zur Verfügung.

Mit freundlichen Grüßen

Prof. Dr. med. Michael Hallek, Geschäftsführender Vorsitzender

Prof. Dr. med. Carsten Bokemeyer, Vorsitzender

Prof. Dr. med. Diana Lüftner, Mitglied im Vorstand

Prof. Dr. med. Florian Weißinger, Mitglied im Vorstand

Prof. Dr. med. Bernhard Wörmann, Medizinischer Leiter