

ID 20 Anwendungsfälle versorgungsnaher Daten zur Evaluation von Interventionseffekten *advanced*

Referentinnen



Dr. Simone Johner

Wissenschaftliche Mitarbeiterin mit
Supervisionsaufgaben
Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im
Gesundheitswesen (IQWiG)



Ulrike Seay

Wissenschaftliche Mitarbeiterin mit
Supervisionsaufgaben
Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im
Gesundheitswesen (IQWiG)

Hintergrund

National und international steht die Nutzung versorgungsnah erhobener Daten zunehmend im Fokus der medizinischen Forschung. Denn solche Daten stehen zum einen teilweise in großem Umfang und ggf. zeitnah (da bereits erhoben) zur Verfügung. Zum anderen ist gerade die Versorgungsnähe ein wichtiges Merkmal, das die Anwendbarkeit und damit die Relevanz der Forschung mit solchen Daten erhöhen soll. In diesem Zusammenhang war in den vergangenen Jahren die Bezeichnung "real world data" prägend, mit dem eine besondere Qualität der Forschung mit solchen Daten betont werden sollte. Fälschlicherweise wird diese Bezeichnung teilweise zur Abgrenzung von Studien ohne Randomisierung von solchen mit Randomisierung verwendet. Eine Ausgrenzung von Studien mit Randomisierung ist für eine qualitativ hochwertige Forschung mit versorgungsnahen Daten jedoch weder sinnvoll noch notwendig.

Auch im Rahmen der Nutzenbewertung von Arzneimitteln spielt die Evaluation von Interventionseffekten auf Basis versorgungsnaher Daten eine immer größere Rolle. Denn wird ein Arzneimittel auf Basis einarmiger, nicht vergleichender Studien zugelassen, muss dennoch für die frühe Nutzenbewertung gemäß §35a SGB V nach Marktzugang ein Vergleich des neu zugelassenen Arzneimittels mit dem bisherigen Therapiestandard erfolgen. Dafür wird von pharmazeutischen Unternehmen verschiedentlich der Versuch unternommen, für den Nachweis eines Zusatznutzens für vergleichende Evidenz externe Kontrollen, z. B. aus Registern, vorzulegen. In den meisten Fällen ist diese Evidenz aber nicht ausreichend, insbesondere, weil eine ausreichende Adjustierung für Confounder nicht möglich war, die für nicht randomisierte Vergleiche aber unabdingbar ist. Seit 2020 besteht in bestimmten Situationen, in denen die Zulassung auf nicht vergleichenden Studien beruht, die Möglichkeit für den gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA), auch noch nach Zulassung die Generierung von Evidenz für die frühe Nutzenbewertung zu fordern: Im Rahmen der anwendungsbegleitenden Datenerhebung (AbD) sollen Daten des neuen Arzneimittels im Vergleich zum Versorgungsstandard erhoben werden. Die primäre Datenquelle für die AbD stellen dafür in der Regel bestehende Indikationsregister dar.

Inhalte des Moduls

- Methodische Grundlagen für die Forschung mit versorgungsnahen Daten zur Evaluation von Interventionseffekten
- Beispiele aus der Nutzenbewertung von Arzneimitteln
- Möglichkeiten der Evidenzgenerierung nach Zulassung: Beispiel Anwendungsbegleitende Datenerhebung
- Studien mit versorgungsnahen Daten: Planung, Datenerhebung, Auswertung mit dem Fokus auf der Nutzung von Registerdaten

Zielgruppe und Teilnahmevoraussetzungen

Zielgruppe: An hochwertiger Versorgungsforschung Interessierte

Teilnahmevoraussetzungen: Grundkenntnisse der medizinischen Forschung (z.B. PICO-Schema, Studientypen)

Literaturangabe

Grundlagen

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen, (IQWiG). Konzepte zur Generierung versorgungsnaher Daten und deren Auswertung zum Zwecke der Nutzenbewertung von Arzneimitteln nach § 35a

SGB V (Auftrag A19-43). 2020. Online: https://www.iqwig.de/download/A19-43_Versorgungsnahe-Daten-zum-Zwecke-der-Nutzenbewertung_Rapid-Report_V1-1.pdf

Kaiser T, Vervölgyi V. Anwendungsbegleitende Datenerhebungen für die Nutzenbewertung von Arzneimitteln in Deutschland: Warum, wann und wie? *GMS Med Inform Biom Epidemiol* 2024; 20. doi: 10.3205/mibe000260. Online: <https://www.egms.de/static/pdf/journals/mibe/2024-20/mibe000260.pdf>

Klinkhammer-Schalke M, Kaiser T, Apfelbacher C, et al. Manual für Methoden und Nutzung versorgungsnaher Daten zur Wissensgenerierung. *Gesundheitswesen* 2020; 82: 717–722. doi:10.1055/a-1237-4011. Online: <https://www.thieme-connect.de/products/ejournals/pdf/10.1055/a-1237-4011.pdf>

Hoffmann F, Kaiser T, Apfelbacher C, et al. Versorgungsnahe Daten zur Evaluation von Interventionseffekten: Teil 2 des Manuals. *Gesundheitswesen* 2021; 83: 470-480. doi:10.1055/a-1483-7235. Online: <https://www.thieme-connect.de/products/ejournals/pdf/10.1055/a-1484-7235.pdf>

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen, (IQWiG). Wissenschaftliche Ausarbeitung eines Konzeptes zur Generierung versorgungsnaher Daten und deren Auswertung zum Zwecke der Nutzenbewertung nach § 35a SGB V in der Situation des Marktzugangs mehrerer Arzneimittel einer Wirkstoffklasse (Auftrag A21-37). 2022. Online: https://www.iqwig.de/download/a21-37_abd-bei-marktzugang-mehrerer-arzneimittel-einer-wirkstoffklasse_rapid-report_v1-0.pdf

Weiterführend

Foroughi S, Wong H, Gately L, et al. Online: Re-inventing the randomized controlled trial in medical oncology: The registry-based trial. *Asia-Pacific J Clin Oncol* 2018; 14: 365-373. doi:10.1111/ajco.12992. <https://onlinelibrary.wiley.com/doi/epdf/10.1111/ajco.12992>

Mathes, T. Anforderung an die Daten für die Target-Trial-Emulation: Eine Diskussion unter Betrachtung von Patientenregistern. *GMS Med InformBiom Epidemiol*2024; 20. doi: 10.3205/mibe000259. Online: <https://www.egms.de/static/pdf/journals/mibe/2024-20/mibe000259.pdf>

Hernán MA, Robins JM. Using Big Data to Emulate a Target Trial When a Randomized Trial Is Not Available. *Am J Epidemiol* 2016; 183: 758–764. doi:10.1093/aje/kwv254. Online: <https://europepmc.org/article/PMC/4832051>