



Hauptverband der
österreichischen
Sozialversicherungsträger

Real World Data – Sicht des Hauptverbandes

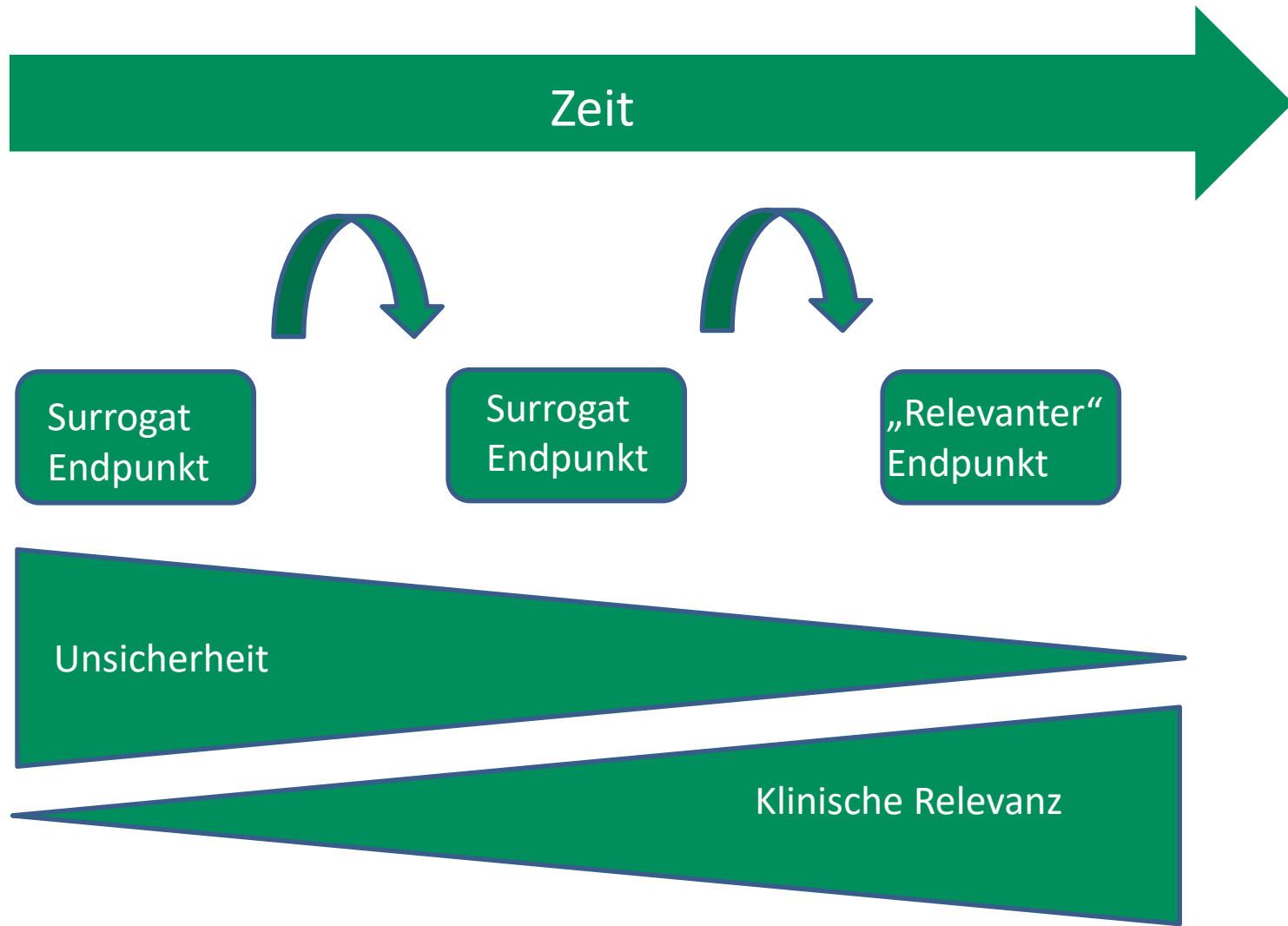
Vertragspartner Medikamente: Stephan Moser
am 28.11.2019

Disclaimer

Contents presented here reflect the views of the presenters.

They are not necessarily identical with those of the Department of Pharmaceutical Affairs, the Main Association of Austrian Social Security Institutions, its Advisory Committees or its management.

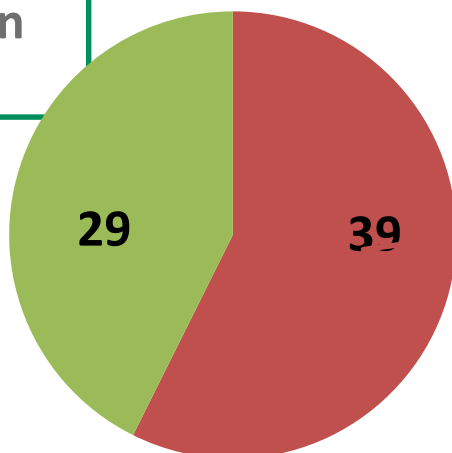
Entscheidungsunsicherheit für das Gesundheitssystem nimmt zu



Onkologie: Bewertung des Zusatznutzens

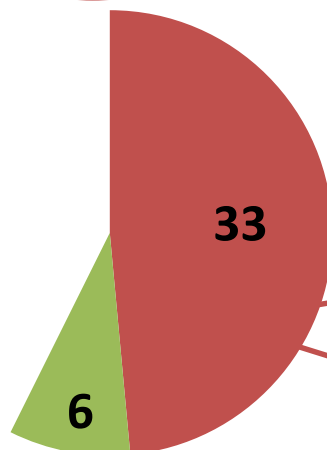
68 neu zugelassene
onkologische Indikationen
(2009 and 2013)

Zur Zulassung:



→ Keine Evidenz für die
Verbesserung des
Gesamtüberlebens oder
der Lebensqualität

>3 Jahre nach der
Zulassung:



→ Keine Evidenz für die
Verbesserung des
Gesamtüberlebens oder
der Lebensqualität

Davis et. al.: Availability of evidence of benefits on overall survival and quality of life of cancer drugs approved by European Medicines Agency: retrospective cohort study of drug approvals 2009-13, in: [BMJ](#). 2017; 359: j4530.

FDA - accelerated approval pathway

- 93 onkologische Indikationen zwischen 1992 und 2017
 - 19 (20 %) verbessertes OS in konfirmatorischen Studien
 - 19 (20 %) Verbesserung im gleichen Surrogat-Endpunkt wie vor der Zulassung
 - 21 (21 %) Verbesserung eines anderen Surrogat Endpunktes wie vor der Zulassung

[Assessment of the Clinical Benefit of Cancer Drugs Receiving Accelerated Approval. Gyawali B et al. JAMA Intern Med. \(2019\)](https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/31135808)
<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/31135808>

Entscheidungen unter Unsicherheit

Öffentlicher Druck

Keine Kontrollgruppe

Wahl des Vergleichsproduktes

Unklarer Benefit
einer vielversprechenden
Therapie

PatientInnenbedarf

Sicherheit

Volumen/Gebrauch



Langzeitauswirkungen

conditional licensing,
exceptional circumstances

Surrogat Endpunkte

Was sind RWD

- Keine einheitliche Definition aber zumeist strukturierte Daten
 - Versichertendaten/Verordnungszahlen
 - Daten aus elektronische Krankenakten
 - Daten aus Registern
 - (Daten von persönlichen elektronischen Geräten/Apps)

Möglichkeiten von RWD

- Schließen von Evidenzlücken
- Können Daten in einer breiteren Population als RCTs generieren
- Epidemiologie
- Hypotesengenerierend
- (Langzeit)-Safety

Können RWD klinische Studien ersetzen ?

- RWD als Ergänzung nicht als Ersatz zu RCTs

Replizierbarkeit von RCTs mittels RWD nur eingeschränkt möglich

- Nur 15 % der 2017 in den 7 highest Impact Journals publizierten Studien sind durch routinemäßige erfasste Daten replizierbar.
- Outcome Daten müssen routinemäßig erfasst werden
- In Studien erhobene Parameter liegen selten in strukturierter Form in elektronischen Krankenakten vor

Feasibility of Using Real-World Data to Replicate Clinical Trial Evidence.

Bartlett VL, Dhruva SS, Shah ND, Ryan P, Ross JS.

JAMA Netw Open. 2019

Limitationen von RWD

- Daten aus elektronischen Krankenakten und Versicherungsdaten nicht primär dafür geschaffen um Forschungsfragen zu beantworten
- Datenqualität oft insuziffzient (fehlende und inkonsistent erhobene Daten)
- Genauigkeit von per Apps und persönlichen elektronischen Geräten gesammelten Daten nicht validiert
- Bias
 - Selektionsbias
 - Informations Bias
 - Recall Bias
 - Detection Bias
- Vergleichbarkeit
- Statistische Methoden noch in Entwicklung

Routinemäßig erhobene Daten in Gesundheitssystemen

- Verordnungen
- Diagnosen
 - Forecasts
 - Populationsabschätzungen
 - Versorgungsforschung/Wissenschaft
- Managed Entry Agreements (MEA)
(Kostenmodelle)
 - Risk Sharing
 - Pay for Performance
 - Pay for Evidence

Conclusio

- Chancen von RWD als Ergänzung nicht als Ersatz zum klinischen Studienprogramm nutzen
- Prospektive Validierung von Methoden
- Technische Umsetzung auf europäischer Ebene fördern
- Einbindung aller Stakeholder (Zulassungsbehörden, HTA-Institute, Zahler) bei Post Licensing Evidence Generation
- Gefahr der finanziellen Risikoverschiebung bei der Entwicklung von Arzneispezialitäten auf den Patienten/das Gesundheitssystem