



GOUYA INSIGHTS

Clinical Development

Klinische Evidenz durch RWD im Bereich MedTech und Pharmaforschung

Ghazaleh Gouya Lechner

RWD und ihre Quellen: Eine Übersicht



GOUYA INSIGHTS



(elektronische)
Patientenakten



Medizinische Leistungen
(Versicherungs-
/Verschreibungsdaten)



Produkt oder
Patientenregister

Und andere Quellen...

Real-World Daten sind Daten zum Gesundheitszustand der Patienten und/oder der Gesundheitsversorgung

GMed

GESELLSCHAFT FÜR PHARMAZEUTISCHE MEDIZIN E.V.





RWD in der Klinischen Forschung

Behandlungsmuster und
-ergebnisse in klinischen
Praxissituationen

Bewertung von
Interventionen in
unterrepräsentierten
Gruppen

Evidenz von potenziellem Nutzen
oder Risiko eines
Arzneimittels/Medizinprodukts

Verallgemeinbarkeit und
externe Validität klinischer
Erkenntnisse

Unterstützung der
vergleichenden
Wirksamkeitsstudien

Beschreibung
von „neuen“
Krankheiten
und deren
Verlauf


Langzeitergebnisse und
Sicherheitsprofile nach
der Markteinführung



Einblick des realen „Real-World“ Patienten
(ohne kontrollierte Bedingungen)



Real World Evidence

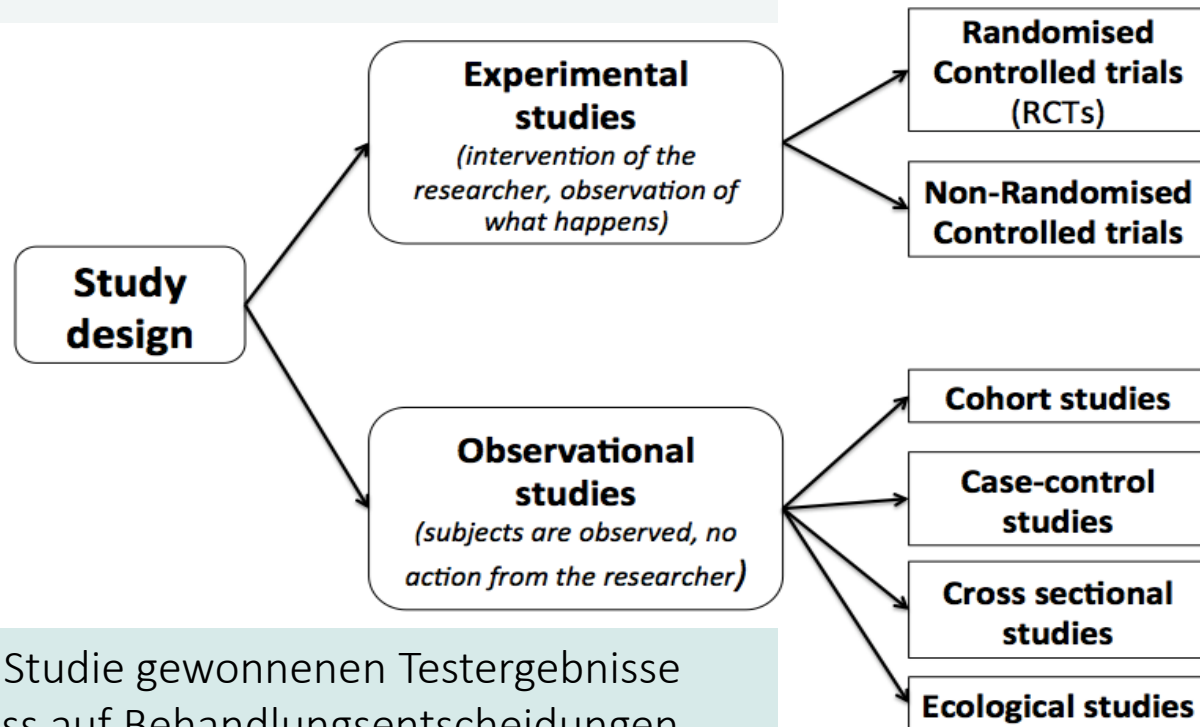
 Real-World-Evidence (RWE) kann verwendet werden, um einen wissenschaftlichen Beweis für den potenziellen Nutzen oder das Risiko einer medizinischen Intervention (Arzneimittel, Medizinprodukt,...) zu erbringen, der aus der Analyse von Real-World-Daten (RWD) abgeleitet wird.





Studiendesign

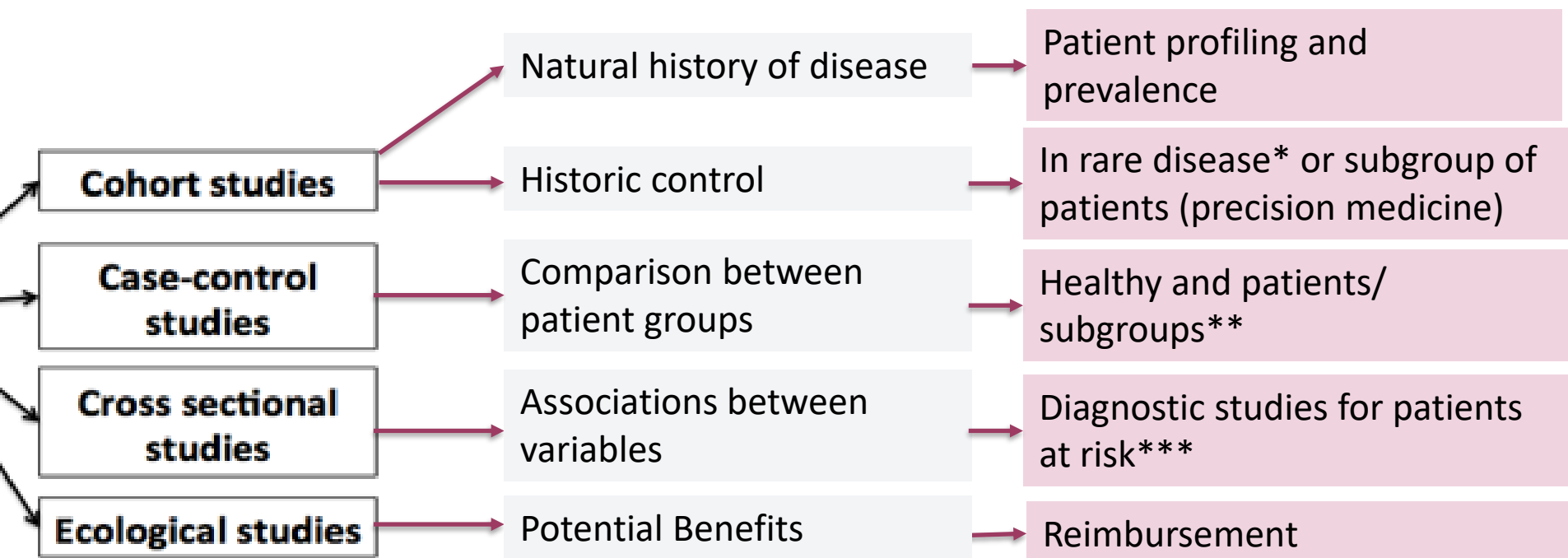
Testergebnisse, die während der Studie erzielt werden, können Entscheidungen über die Behandlung des Patienten beeinflussen und zur Steuerung der Behandlung verwendet werden.



Die im Rahmen der Studie gewonnenen Testergebnisse haben keinen Einfluss auf Behandlungsentscheidungen.



RWD-Beobachtungsstudien und Evidenz



*where randomization of patients would be unethical

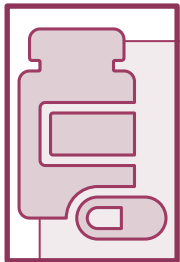
**Non-interventional studies or patients registries

***Scientific validity of Biomarker

Drug Approval by FDA/EMA Using Real-World Data/Real-World Evidence

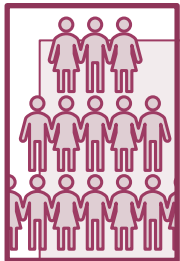


GOUYA INSIGHTS



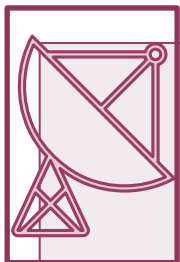
Erstzulassungen

Brineura® (cerliponase alfa)
Yescarta® (axicabtagene ciloleucel)
Zolgensma® (onasemnogene abeparvovec-xioi)



Erweiterung der Indikationen
für Patientengruppen für
zugelassene Arzneimittel

Kymriah® (tisagenlecleucel)
Blinicyto® (blinatumomab)
Tepadina® (thiotepa)



Überwachung nach dem
Inverkehrbringen

Ibrance® (palbociclib)
Lumizyme® (alglucosidase alfa)

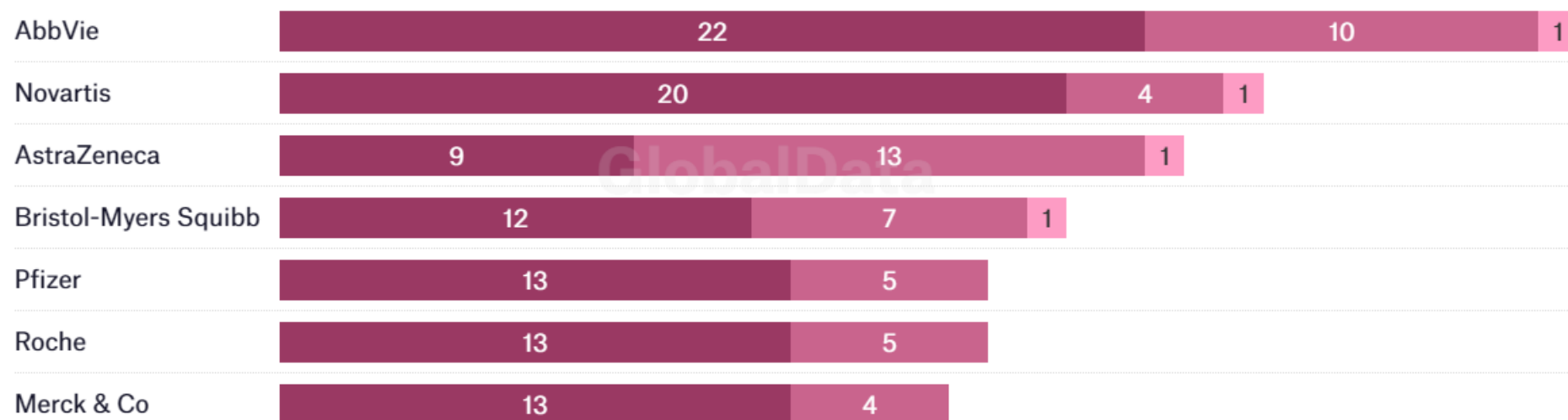


Industry and Real-World Data

AbbVie is top **industry sponsor** using RWD in clinical trials

Industry-sponsored studies using RWD between 2003–2022, sorted by study status

■ Completed ■ Active ■ Planned






Aktueller Status an Beobachtungsstudien

- Clinicaltrials.gov: 101969 observational studies
- Industry sponsored: 18942
- 3791 recruiting
- 11327 completed

“a well-designed nonrandomized study is preferable to a small, poorly designed and exclusive RCT”



Real World Evidence

 Real-World-Evidence (RWE) kann verwendet werden, um einen wissenschaftlichen Beweis für den potenziellen Nutzen oder das Risiko einer medizinischen Intervention (Arzneimittel, Medizinprodukt,...) zu erbringen, der aus der Analyse von Real-World-Daten (RWD) abgeleitet wird.

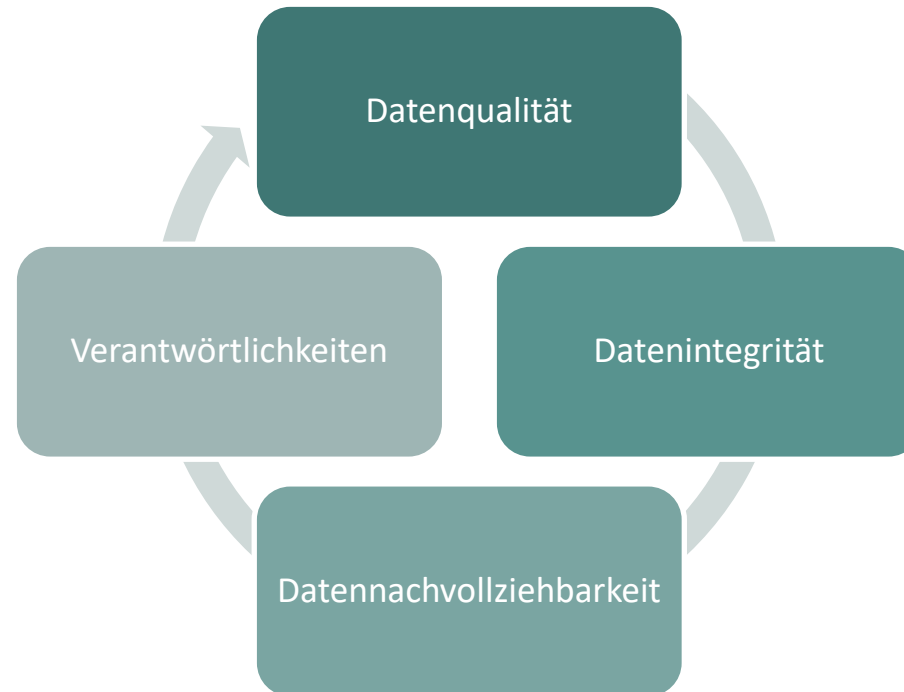
Gute klinische Praxis: ICH-GCP E6 und ISO 14155:

- Prozesse für die Rückverfolgbarkeit und Zuverlässigkeit von Daten
- Wahrung der Integrität der Daten und die Gewährleistung von Transparenz





Datenintegrität und Transparenz



Good Clinical Practice

“an ethical and scientific quality standard for designing, conducting, recording, and reporting trials that involve human subjects. It provides public assurance that the rights, safety, and well-being of subjects are protected, and clinical data is credible.”



Case Study I

A Retrospective Natural History Cohort Study in Patients with XXX Deficiency (Rare Disease)

Objective

- Patient profiling and endpoint definition
- Source of a historic control in a rare disease

Study design

- Collection of retrospective routine data from EHR

Clinical Study Protocol

- defined data to be collected and how to be analyzed

Informed consent form*

- diverse landscape across countries and regions
- safeguard for data processing compliance

Submission to an IRB/EC

- Not all IRBs/EC have taken the review obligation
- No submission to regulatory agency

*Guidance on ICFs fore retrospective data collection missing



Identifying XXX biomarker in patients with XXX

Objective

- Correlation of biomarker to disease severity
- Scientific validity (and analytical validation of the biomarker)

Study design

- Prospective cohort study
- Blood and data collection

Clinical study protocol*

- Non-interventional study (blood draw is considered a minimal risk routine intervention)

Informed consent form

- Safeguard for data processing compliance
- Blood sampling (duration and location of storage of samples)

IRB/EC submission

- No submission to regulatory agency





Case Study III (MPG Studie)

Clinical Performance XXX app (SaMD) to support the monitoring of patients disease and early detection of deterioration (Art. 70 Abs. 7a MP Niedrigrisikoprodukte (Klasse I, IIa/IIb nichtinvasiv))

Objective:

- Obtaining evidence on clinical performance and safety data

Study design

- Ambispective study
- Data collection through the app and additional clinical data

Study protocol

- ICF
- IRB/EC Submission
- Submission to regulatory agency

- Medizinprodukteverordnung (MDR) 2017/745 gilt Software, die für die medizinische Diagnose oder Behandlung bestimmt ist, als Medizinprodukt.
- Essentielle Anforderungen wie Sicherheit, Leistung, Design, Risikomanagement und Usability müssen vorgelegt werden
- Klinische Bewertung: klinischer Daten notwendig um die Sicherheit, die Leistung und den klinischen Nutzen des Produkts nachzuweisen. Die klinische Bewertung sollte den Grundsätzen in ISO 14155 und in MEDDEV 2.7/1 Revision 4 folgen

Die Zukunft von RWE in der Klinischen Forschung



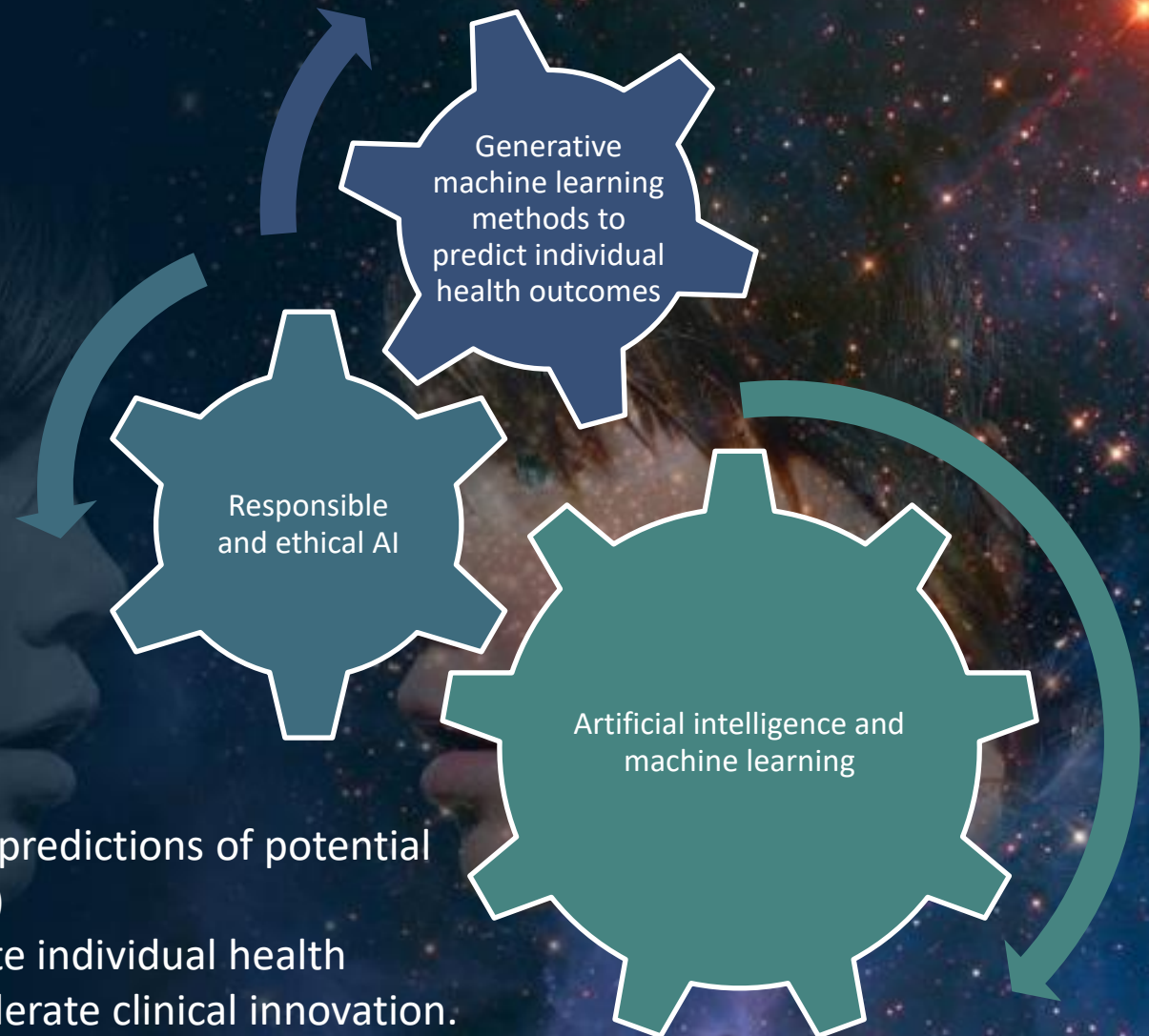
GOUYA INSIGHTS



Die Zukunft von RWE in der Klinischen Forschung



GOUYA INSIGHTS



- Simulation enables precise predictions of potential futures outcomes (forecast)
- Patient digital twins simulate individual health outcomes (compare)d accelerate clinical innovation.



Take Home Message

RWE für die Arzneimittelentwicklung, va bei seltenen Krankheiten (Subgruppen), aber auch in der Entwicklung von Medizinprodukte oder In-Vitro Diagnostika

Empfehlungen zur Datenqualität der RWD*

Daten zur Evidenz müssen nachvollziehbar sein (Studienprotokoll - Datenintegrität)

Verantwortlichkeiten der IRB/EC bei RWE Studien nicht harmonisiert

Wachsendes Forschungsfeld
