



Chancen und Herausforderungen nicht-öffentlich geförderter Register



Dr. med. Norbert Marschner, Freiburg
Internistischer Onkologe & Gründer IOMEDICO

Das ideale Register

- wird initial von einem bereits etablierten, sehr erfahrenen interdisziplinären Team konsequent sorgfältig und prospektiv geplant!
- Die wissenschaftliche **Prozesskette**...

Projektkonzeption ▶ interdisziplinäre, intersektorale Diskussion ▶ Ethik

▶ optimiertes, getestetes EDC ▶ Projektleitung ▶ Zentrenlogistik

▶ Data Management ▶ Qualitätsmanagement ▶ Statistik

ist beim Start bereits quantitativ und qualitativ etabliert

Das ideale Register

- Alle wichtigen **Auswerteziele** stehen zur Ethikeinreichung fest und sind operativ bis hin zu Datamanagement und Statistik durchgeplant.
- **Erweiterungen** sollten jederzeit möglich sein:

Fallzahlerhöhung, Laufzeitverlängerung, Satelliten

- Biobanking,
- Quality of Life (QoL)
- Pragmatic Trials
- DIGA
- Etc....

Wichtigster Erfolgsfaktor: Kompetente, langfristige, interdisziplinäre Teams

Wissensgenerierung für die allgemeine Versorgung

- Phase I-III Studien an hoch-selektionierten Pat. Kollektiven generieren klare Aussagen für exakt diese Patientengruppe (~ 25% der Pat.) | = **Interne Validität**
- In der Onkologie wurde beim Einsatz der Innovationen sehr schnell klar, dass das Wissen aus den Phase I-III Studien **nicht** ausreicht:
 - **es fehlt vielfach die externe Validität**

Neutralität in der Zentrenauswahl

Eine wichtige Frage für öffentliche und nicht öffentliche Register

- ist die unabhängige, qualitative Zentrenselektion,
interdisziplinär, intersektoral: Akad. Zentrum / Klinik und Praxis
- Vermeidung eines Zentrenbias in jeder Hinsicht
- Medizinpolitische Ziele dürfen keine Rolle spielen

Finanzierung

1. Öffentliche Finanzierung

sehr schwierig für nicht akademische Gruppen

2. Kooperation mit akademischen Studiengruppen mit öffentlicher und +/- pharmazeutischer Finanzierung

gut möglich, Beispiel **CRISP (> 15.000 Lungenkarzinome)**

3. Kooperation mit pharmazeutischen Partnern oder Stiftungen

gut möglich, v.a. eine Frage der Qualität der Netzwerke

Ziele der Pharmapartnern

- **Ziele der Kooperation aus Sicht des Finanzpartners**
 - ❖ Generierung von Wissen, ergänzend zu den Phase I-III Studien = Real World
 - ❖ Daten für Präsentationen und Publikationen
 - ❖ Fragen zur optimalen **Dosierung** in Real World (75% non-RCT Patienten)
 - ❖ Fragen zu optimalen **Therapiesequenzen**, gerade in der Onkologie
 - ❖ Möglichkeit der Ergänzung von Daten zur **Nutzenbewertung**
 - ❖ Akzeptanz der Medikation in der Community

Verträge mit Pharmapartnern

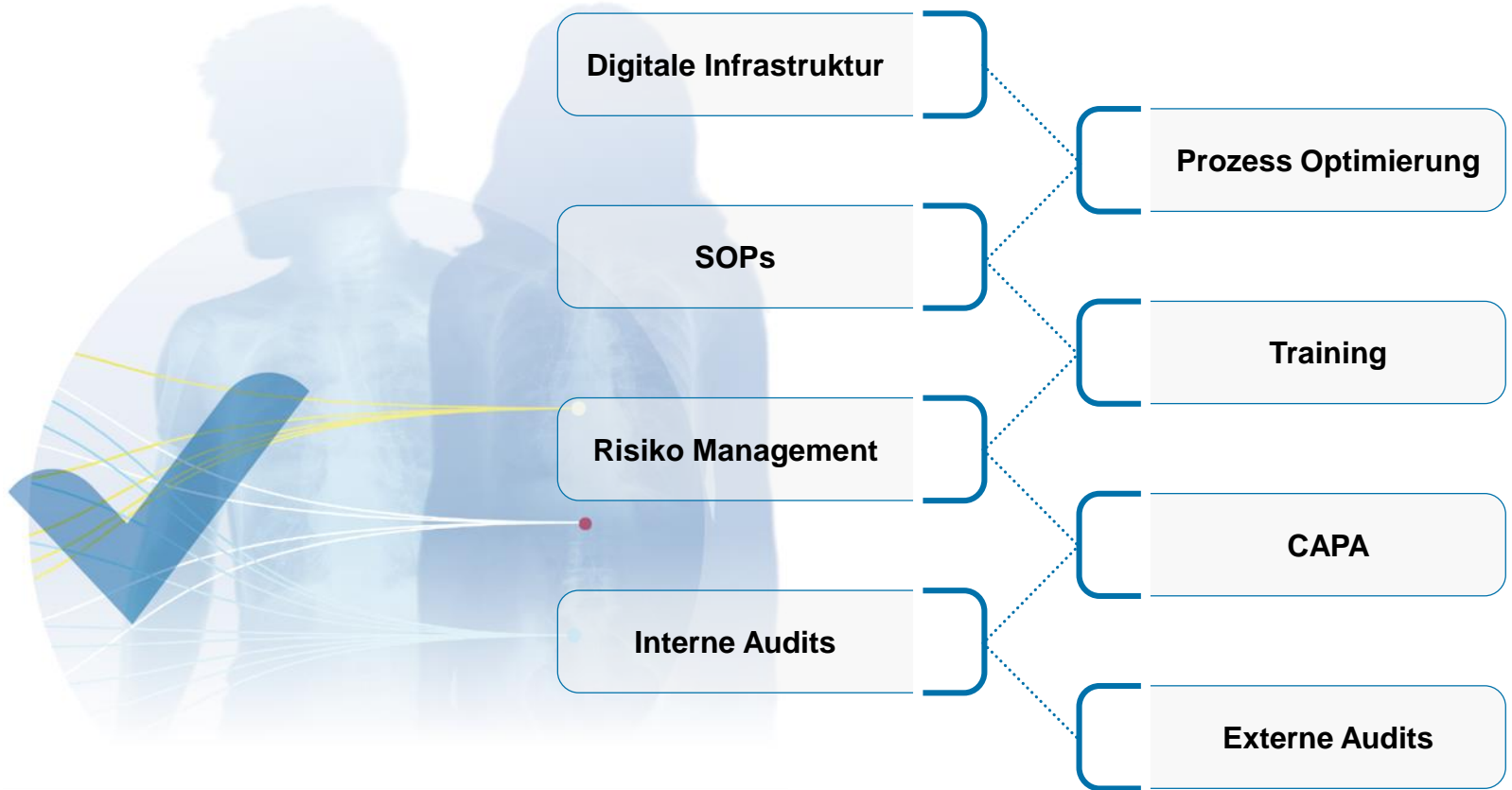
- Komplexität der Verträge mit Pharmaabteilungen: **Feinabstimmungen**
 - ❖ **Med. Team:** Wünsche an grundsätzliche Inhalte, Design, Fragebögen
 - ❖ **Jurist. Team:** Prüfung der Verträge
 - ❖ **PV Team:** Festlegung der Abläufe mit Substanzen des Pharmapartners
 - ❖ **Compliance** Check
 - ❖ Ggf. mehrere Runden

 - ❖ **Dauer:** ~ 1 Jahr, **länger** wenn globale Strukturen involviert werden

Neutralität in der Kooperation mit Pharmapartnern

- **Neutralität** ► Lösung: **multi-sponsoring**
 - **Unabhängigkeit** ► Vertragliche Regelung der **wiss. Publikationshoheit**
-
- **Gegenleistungen** für die finanzielle Unterstützung ► **Wissen**
z.B. regelmäßige Reports, Vorträge, Publikationen
zunehmend: gemeinsame internationale Datenauswertungen
 - **Hohe Datenqualität** ► **optimiertes Qualitätsmanagement**

Qualitätsmanagement



Sichere Finanzierung

- **Gut** geplante, QM optimierte Register sind **aufwändig**, aber langfristig **preiswert!**
- Register ohne optimiertes QM sind **günstig**, aber fast **wertlos!**
- Alle eingesetzten Ressourcen werden geplant, aufgebaut und für **alle Partner fair und nachhaltig finanziert**.
- **Erweiterungen / Satelliten / Pragmatic Trials, etc...** sind bei optimaler Datenbankstruktur mit ergänzenden Finanzmitteln jederzeit möglich

COVID Register, n > 10.000

Ideal im Krankenhaus- und Praxisbereich

- Aufbau ist kurzzeitig möglich
 - geringer finanzieller Aufwand/Patient|in
- **Typische Finanzierung: Öffentliche Förderung**

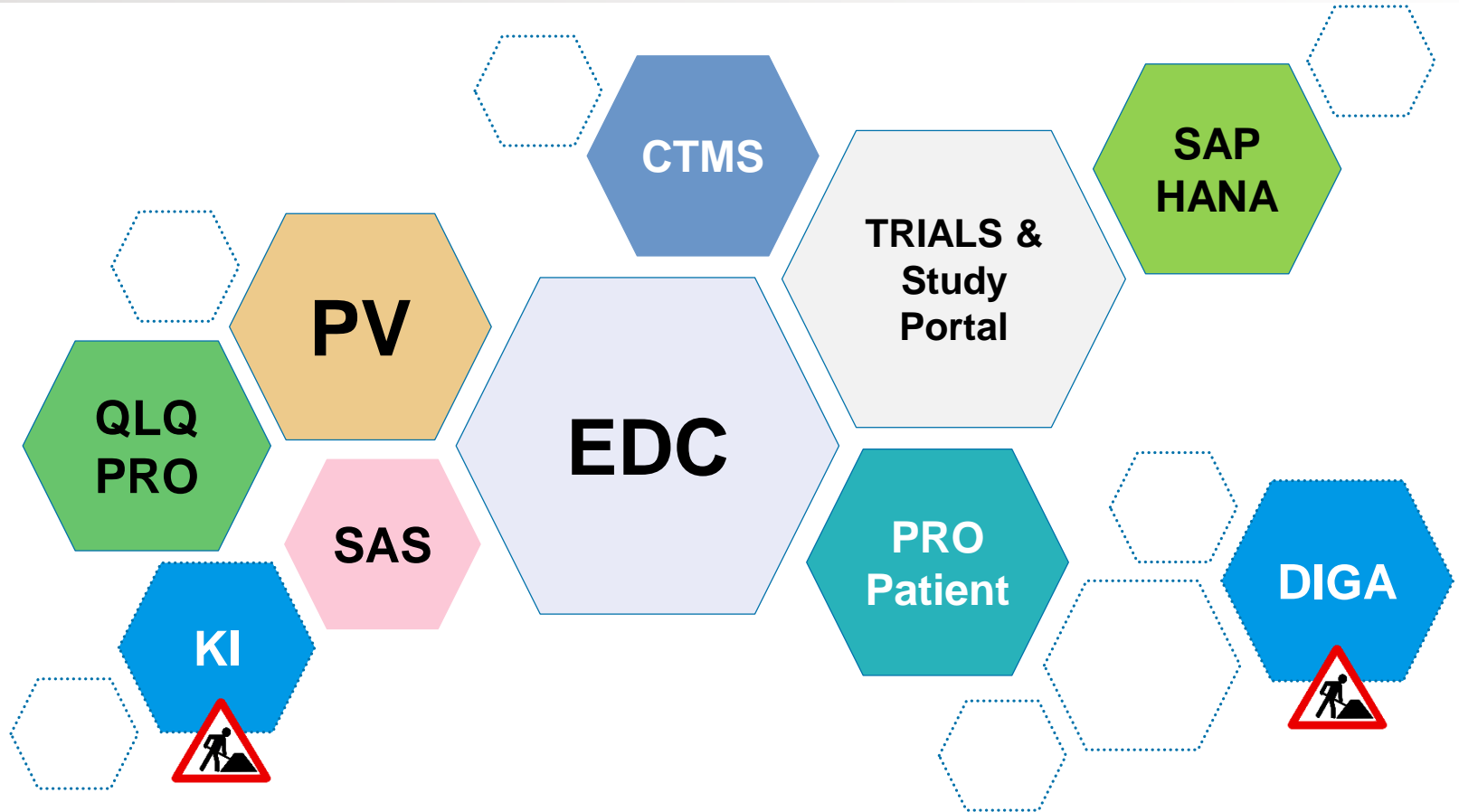
Metastasiertes Mammakarzinom, n > 10.000 Patient|innen

- Overall Survival: 6 Monate bis > **20 Jahre**
- Multiple differente Therapiestrategien, Biomarker assoziiert
- Viele sequentielle Therapielinien
- **Sehr sorgfältige Planung im Registeraufbau erforderlich und prospektive Langzeiterfassung mandatory**
- **Zentrenauswahl:** repräsentativ, intersektoral, interdisziplinär und international
- **Typ. Finanzierung:** nicht-öffentlich, viele Finanzpartner aus der Pharmaindustrie

Digitale interoperable Datennutzung

- In Kliniken und Praxen gibt es multiple, meist nicht interoperable Datenstandards!
- **Maxime der Routine Dokumentation:** **As quick as possible & as needed!**
- **Maxime der Wiss. Dokumentation:** **As exact as possible!**

Digitale Evolution hat neue kreative Wege in Science geöffnet



Innovation: Neue, sehr wichtige Analysequalitäten

- KI: Optimierung von **Dosierungsempfehlungen** für „non-Phase I-III“ patients



Innovation: Neue, sehr wichtige Analysequalitäten

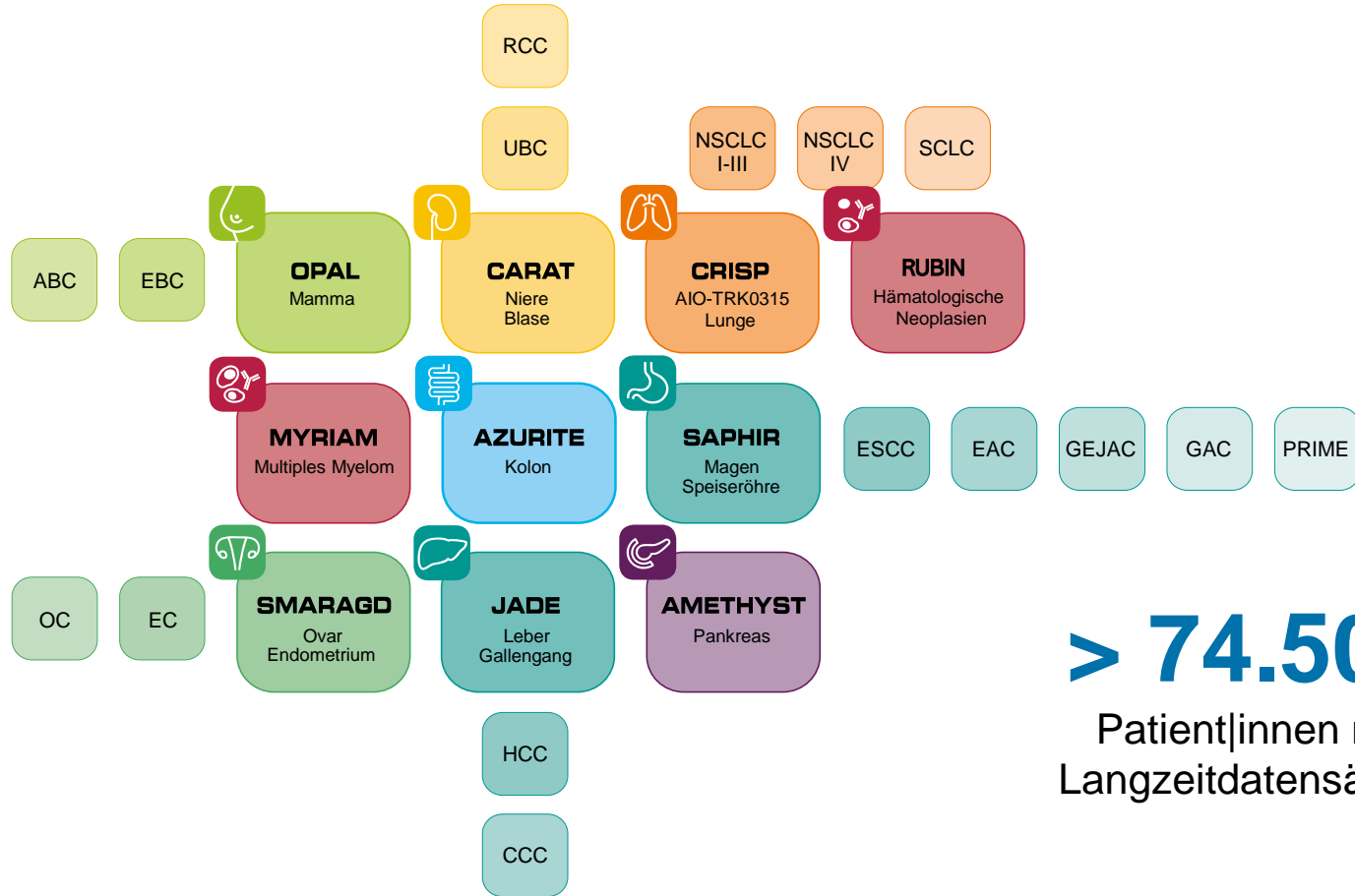
- KI: Langzeitanalysen zur Lebensqualität, abh. von Therapiestrategien



2006 Start des ersten onkologischen Registers



2006-2023: Stetige Erweiterungen auf nahezu alle onkologischen Bereiche



> 74.500
Patient|innen mit
Langzeitdatensätzen

Fazit: RWD & die Optimierung der Patientenversorgung

- Allgemeine unabhängige Erkenntnisse zu **Therapiestrategien, Dosierungsempfehlungen** und zur **Bewertung der Lebensqualität** werden möglich.
 - ▶ bestmögliche **Validität** für die ärztliche **Behandlung**
 - ▶ ergänzende **Wissensgenerierung** für die Leitlinien
 - ▶ RWD können bei hoher Qualität die **Nutzenbewertung** unterstützen

Die Kombination des Wissens aus RCT und RWD führt zur
Synergie von Interner und Externer Validität

Bisher nicht mögliche **Langzeitanalysen** werden die
Patientenversorgung nachhaltig weiter verbessern!