

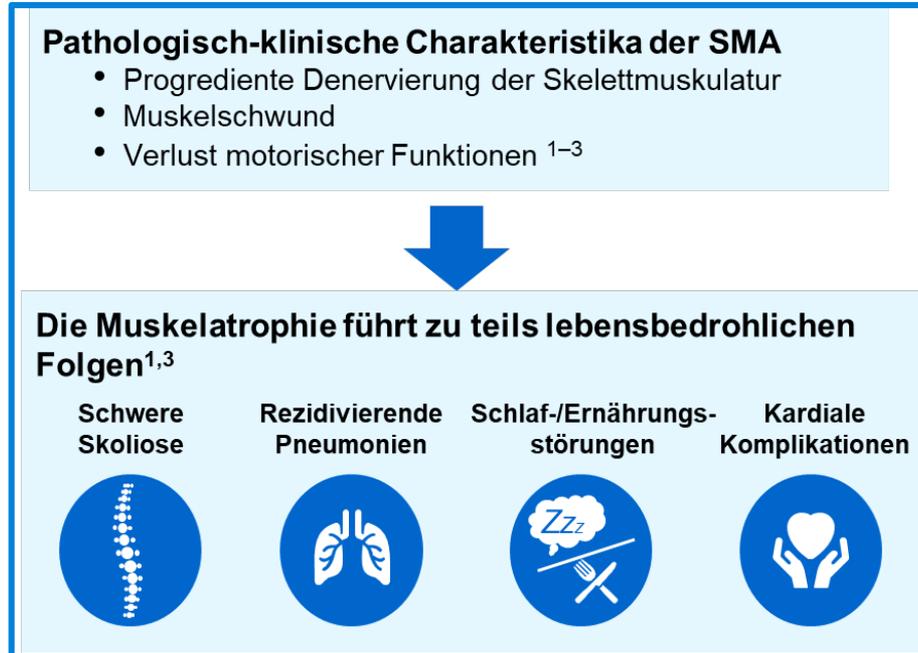
Eine Perspektive der Pharmaindustrie auf die Anwendungsbegleitende Datenerhebung (AbD): Herausforderungen und Lösungsansätze

Registertage 2025

Dr. Hanna Bayer, Principal Lead HTA & Value Strategy
Roche Pharma AG

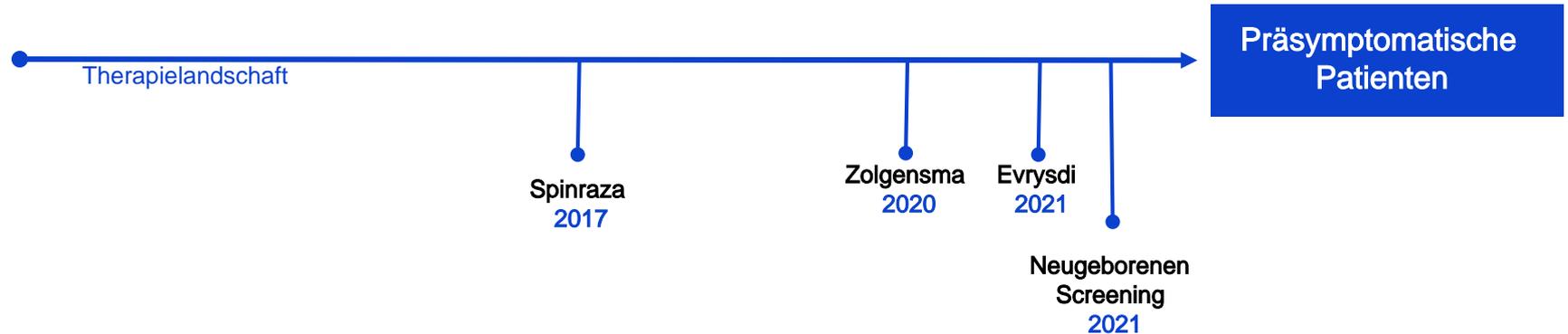
Spinale Muskelatrophie (SMA) entsteht durch *SMN1*-Gendefekt

Ein fortschreitender Untergang von Nervenzellen im Rückenmark führt zum Muskelschwund



Umbruch in der Therapielandschaft

Es wurden drei hochwirksame Therapien zugelassen seit 2017



Spannende Entwicklung zur Beobachtung im Real World Setting

Der G-BA fordert eine AbD auf Basis des SMARTCARE Registers

Population:

Präsymptomatische Patienten mit SMA (~~SMN2~~ Kopien)

Patienten mit SMA Typ 1 (≤ 3 SMN2 Kopien)

Patienten mit SMA Typ 2 (≤ 3 SMN2 Kopien)

Patienten mit SMA Typ 3 (≤ 3 SMN2 Kopien)

Intervention: Evrysdi® (Risdiplam)

Comparator: Therapie nach Maßgabe des Arztes unter Auswahl von Spinraza® (Nusinersen) und Zolgensma® (Onasemnogen-Abepravovec)

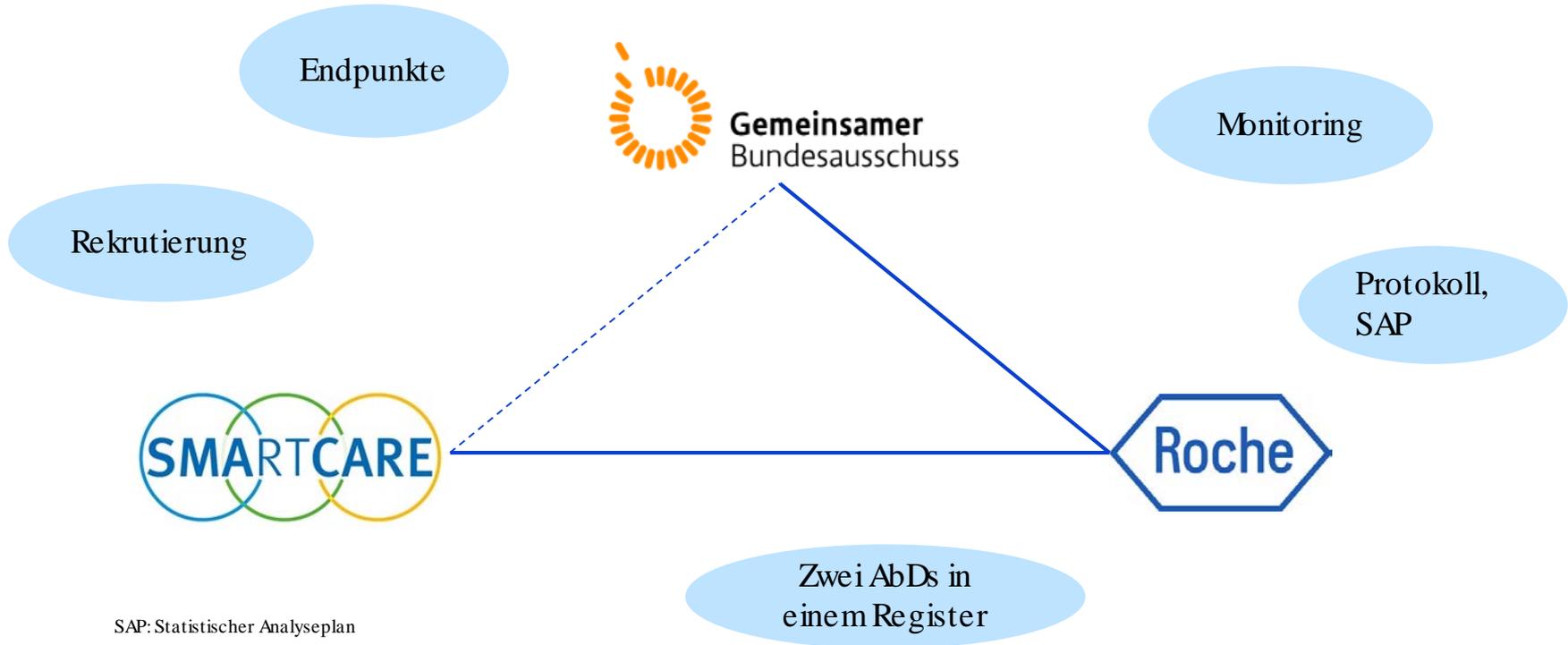
Outcome: Mortalität, Motorische Funktion inkl. Motorische Meilensteine, Respiratorische Funktion, Bulbäre Funktion, SUE, Unerwünschte Ereignisse, die zu einer Hospitalisierung führen, AESI

Datenqualität: Monitoring muss implementiert werden (100% Source Data Verification (SDV) für den primären Endpunkt, mindestens 10% aller Patienten für alle weiteren Endpunkte)



- 2187 registrierte Patienten
- 85 initiierte Zentren

Die größte Herausforderung besteht in der Kommunikation



Lösungsansätze für die herausfordernde Situation einer AbD auf einem bestehenden Register

Kommunikation fördern

Stetiger Austausch mit allen Beteiligten vereinfacht das Aufsetzen einer AbD.

Intensive Vorabprüfung

Eine gemeinsame Prüfung der Machbarkeit unter Beteiligung von IQWiG, G-BA und pharmazeutischen Unternehmen zu allen Faktoren, die die Realisierbarkeit der AbD beeinflussen, sollte vor Beauftragung erfolgen.

Kollaborative Endpunktauswahl

Die Auswahl relevanter Endpunkte sollte in Zusammenarbeit zwischen G-BA, Fachgesellschaften und pharmazeutischen Unternehmen erfolgen.

Risikobasierte Datenverifizierung

Anstelle einer 100% Source Data Verification sollten risikobasierte oder systematische technische Prüfungen der Daten in Betracht gezogen werden.

Vereinbarkeit von HTA und Real World

Bestrebungen, so viele Daten wie möglich automatisch in eine Registerstruktur fließen zu lassen, führen zu vollständigeren Daten und zu Entlastung der Zentren.

Doing now what patients need next