

# **Anwendungsbegleitende Datenerhebungen (AbD): Warum, wann und wie?**

Workshop „Praktische Aspekte bei der Anwendung von Propensity Scores“  
AG Therapeutische Forschung der GMDS

17.11.2022 (virtuell)

T. Kaiser

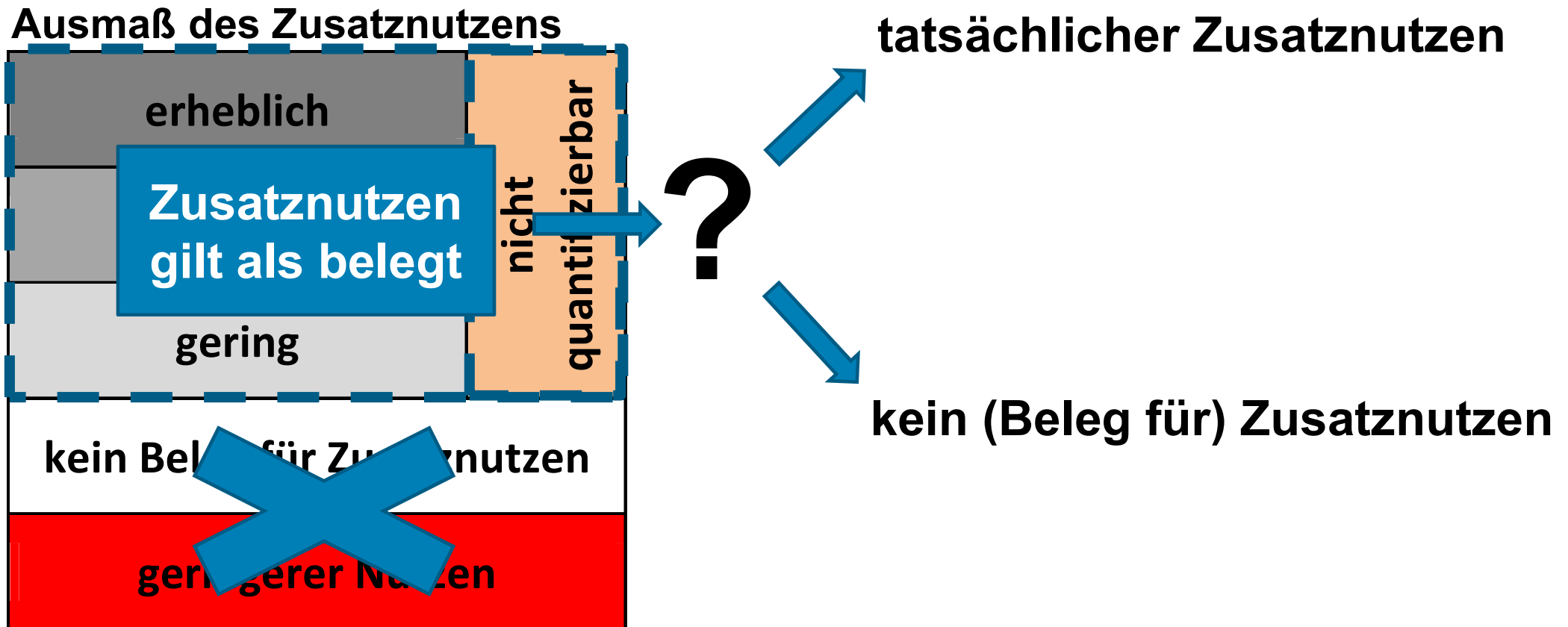
# Arzneimittelbewertung in Deutschland: § 35a SGB V (AMNOG)

- Nutzenbewertung für jedes Arzneimittel mit **neuen Wirkstoffen** oder nach Zulassung eines **neuen Anwendungsgebiets**
- Frage nach dem **Zusatznutzen** (nicht nach dem Nutzen): **Vergleich** mit der „Standardtherapie“ (zweckmäßige Vergleichstherapie)
- **Quantifizierung** des Zusatznutzens in Kategorien (Ausmaß des Zusatznutzens)
- anschließende **Preisgestaltung** u.a. abhängig vom Ausmaß des Zusatznutzens

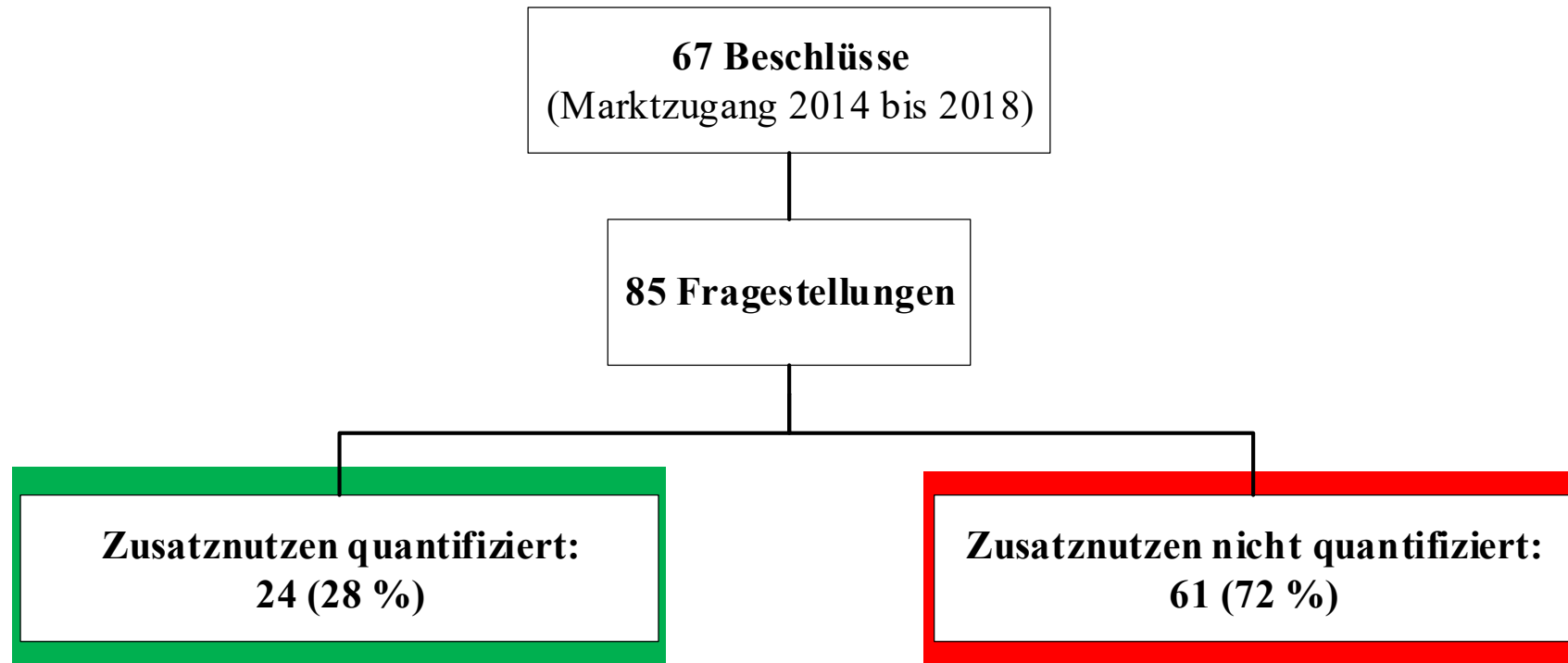
# Sonderfall Orphan Drugs

- Für Arzneimittel ... zur Behandlung eines seltenen Leidens ... **gilt** der medizinische **Zusatznutzen durch die Zulassung als belegt**;
- **Nachweise** nach Satz 3 Nummer 2 und 3 [*insbesondere Zusatznutzen gegenüber zweckmäßiger Vergleichstherapie*] müssen ... **nicht vorgelegt** werden.
- **Übersteigt der Umsatz** ... in den letzten zwölf Kalendermonaten einen Betrag von **50 (30) Millionen Euro**, so hat der pharmazeutische Unternehmer ... den **Zusatznutzen** gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie ... **nachzuweisen**.

# „Fiktiver“ Zusatznutzen für Orphan Drugs bei Marktzugang



# Datenlage für Orphan Drugs bei Marktzugang IQWiG



**Reguläre Bewertung nach Überschreitung der Umsatzschwelle:  
54% der Fragestellungen kein Beleg für Zusatznutzen**

# Anwendungsbegleitende Datenerhebung nach § 35a Abs. 3b SGB V (AbD)

## Gesetzesbegründung 2019

**In bestimmten Fällen ... Zulassung ...**, auch wenn noch keine vollständigen klinischen Daten ... vorliegen oder die vorhandene **Evidenzlage ... nur sehr gering** ist.

Um diese **Arzneimittel ... zügig zur Verfügung stellen** zu können und gleichzeitig eine **bessere Datenbasis zur Bewertung des Zusatznutzens zu erhalten**, kann der G-BA verlangen, dass anwendungsbegleitende Datenerhebungen oder Auswertungen zum Zweck der Nutzenbewertung durchgeführt werden.

# Anwendungsbegleitende Datenerhebung nach § 35a Abs. 3b SGB V (AbD)

## 2019 beschlossen als Kann-Regelung

- Nur für Orphan Drugs, bedingter Zulassung oder Zulassung unter außergewöhnlichen Umständen
- Ziel: Quantifizierung Zusatznutzen gegenüber Standard (zVT)

## Wichtige Rahmenbedingungen

- Start frühestens ab Marktzugang
- keine Randomisierung
- Vorgaben möglich (z. B. Erhebung Confounder, PROs)
- Verordnungsbeschränkung möglich (Teilnahme an AbD)

# Auflagen der EMA – ausreichend als AbD?

## § 35b Abs. 3b SGB V (AbD)

„Dabei soll [der G-BA] **laufende und geplante Datenerhebungen** zu dem Arzneimittel **berücksichtigen, insbesondere** solche, die sich aus **Auflagen** oder sonstigen Nebenbestimmungen **der Zulassung**- oder Genehmigungsbehörden ergeben.“

## Stand heute (4 AbD-Auflagen des G-BA)

Keine vergleichende (Register)Studie als Auflage der Zulassungsbehörden



# Ablauf AbD am Beispiel Onasemnogen- Abeparvovec bei spinaler Muskelatrophie (SMA)



**Einleitung Verfahren durch G-BA 7/2020**

**Konzept IQWiG für AbD 1.10.2020:** [www.iqwig.de/projekte/a20-61.html](http://www.iqwig.de/projekte/a20-61.html)

Stellungnahmen, Fachgespräch

**G-BA-Beschluss zur Auflage einer AbD 1/2021:** [www.g-ba.de/beschluesse/4702/](http://www.g-ba.de/beschluesse/4702/)

**Erster Schritt der AbD: Erstellung SP/SAP durch pU (6 Monate)**

**Prüfung SP/SAP für die AbD durch IQWiG 8/2021 und 12/2021:**

[www.iqwig.de/projekte/a21-107.html](http://www.iqwig.de/projekte/a21-107.html) und [www.iqwig.de/projekte/a21-149.html](http://www.iqwig.de/projekte/a21-149.html)

**Beschluss G-BA zum AbD-Start 1/2022, dabei Abnahme SP/SAP unter Auflagen:**

[www.g-ba.de/beschluesse/5246/](http://www.g-ba.de/beschluesse/5246/)

**Erneute Prüfung SP/SAP durch IQWiG 8/2022:** [www.iqwig.de/projekte/a22-84.html](http://www.iqwig.de/projekte/a22-84.html)

**Beschluss G-BA zum Stand AbD inkl. SP/SAP 10/2022:** [www.g-ba.de/beschluesse/5674/](http://www.g-ba.de/beschluesse/5674/)

# Ablauf AbD am Beispiel Onasemnogen- Abeparvovec bei spinaler Muskelatrophie (SMA)

Bei allen Prüfungen SP/SAP relevante  
Defizite im Bereich Adjustierung für  
Confounder // Propensity Scores

Einleitung Verfahren durch

Konzept IQWiG für AbD  
Stellungnahmen, Fachge  
G-BA-Beschluss zur Au

Erster Schritt der AbD: I

Prüfung SP/SAP für die AbD durch IQWiG 8/2021 und 12/2021:

[www.iqwig.de/projekte/a21-107.html](http://www.iqwig.de/projekte/a21-107.html) und [www.iqwig.de/projekte/a21-149.html](http://www.iqwig.de/projekte/a21-149.html)

Beschluss G-BA zum AbD-Start 1/2022, dabei Abnahme SP/SAP unter Auflagen:

[www.g-ba.de/beschluesse/5246/](http://www.g-ba.de/beschluesse/5246/)

Erneute Prüfung SP/SAP durch IQWiG 8/2022: [www.iqwig.de/projekte/a22-84.html](http://www.iqwig.de/projekte/a22-84.html)

Beschluss G-BA zum Stand AbD inkl. SP/SAP 10/2022: [www.g-ba.de/beschluesse/5674/](http://www.g-ba.de/beschluesse/5674/)