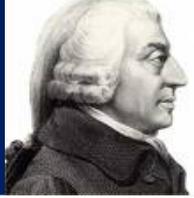




AMNOG-Fachtagung des G-BA

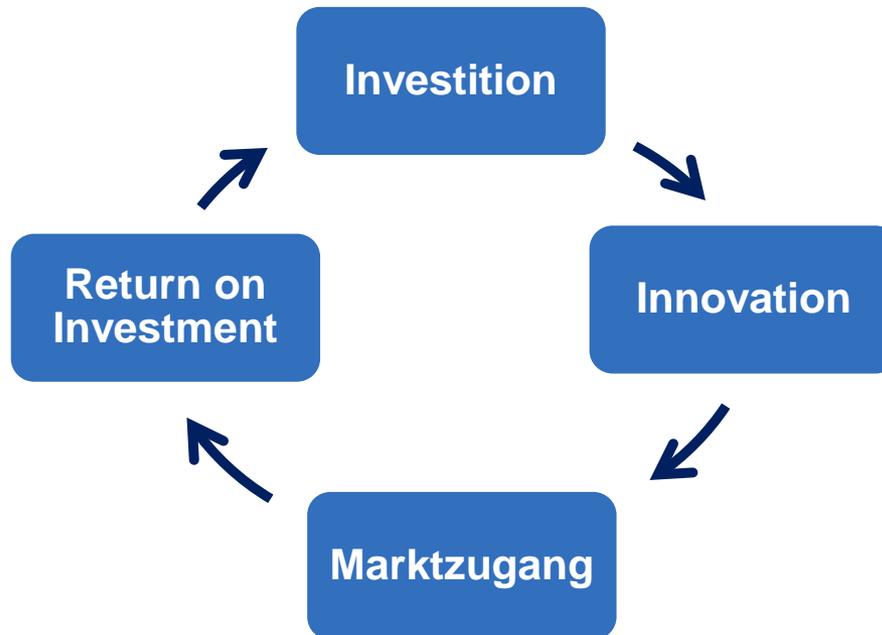
***Besondere Therapiesituationen –
Bedingte Zulassung, Kinderarzneimittel
und Orphan Drugs***

Martin Völkl, Director Market Access & Public Affairs, Celgene GmbH

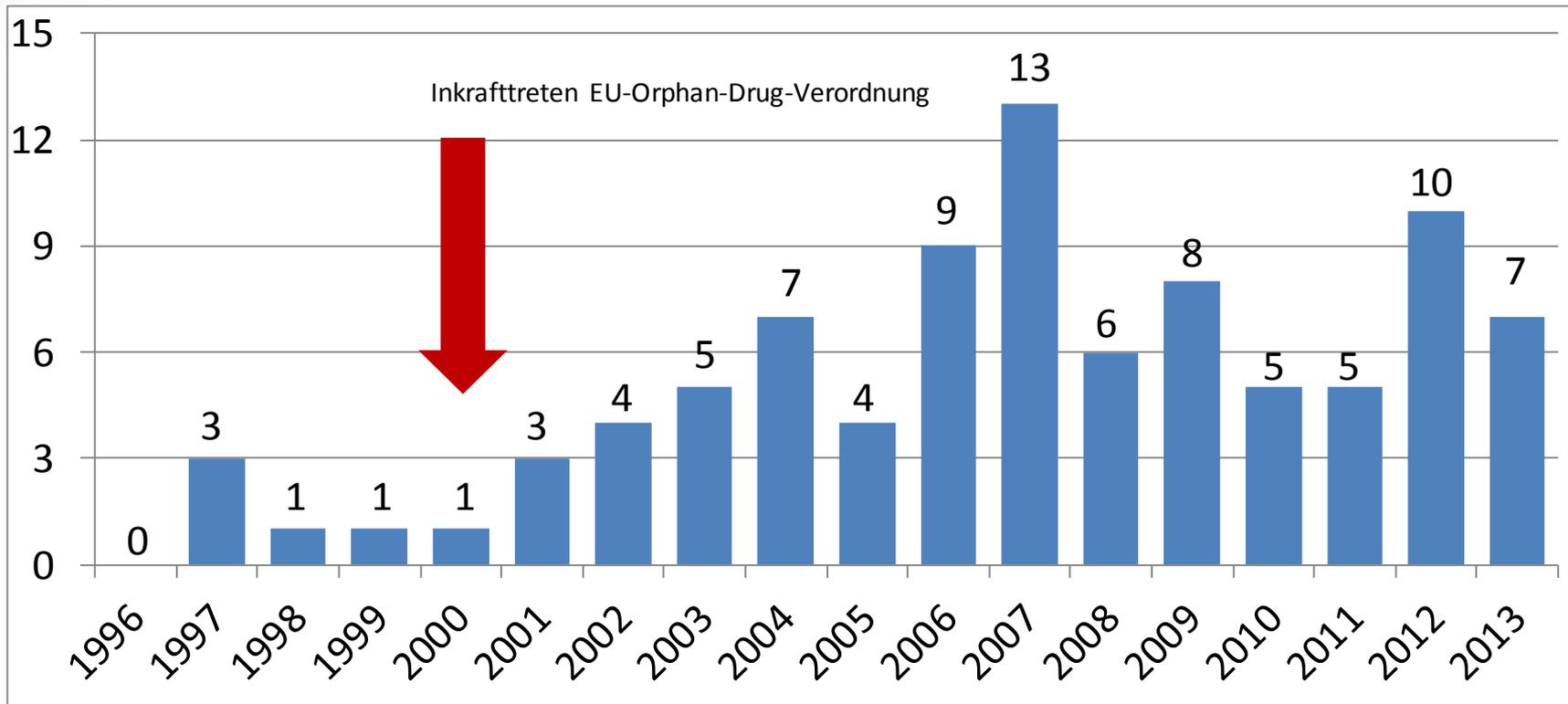


„Nicht vom Wohlwollen des Metzgers, Brauers und Bäckers erwarten wir das, was wir zum Essen brauchen, sondern davon, dass sie ihre eigenen Interessen wahrnehmen.“

Adam Smith (1776): Eine Untersuchung über die Natur und die Ursachen des Reichtums der Nationen / Adam Smith ist der Begründer der modernen Volkswirtschaftslehre



Zulassung von Arzneimitteln für seltene Erkrankungen in Europa



Anmerkung:

Diagramm umfasst auch Medikamente, die inzwischen keinen Orphan Drug-Status mehr haben oder vom Markt genommen worden sind.

Einige dieser Medikamente sind für die Therapie mehrerer seltener Krankheiten zugelassen

Mögliche Fehler beim Testen von Hypothesen bei der Bewertung des Zusatznutzens von Arzneimitteln

Entscheidung	Wahrer Zustand	
	Zusatznutzen ist <u>nicht</u> vorhanden (H_0 trifft zu)	Zusatznutzen ist <u>vorhanden</u> (H_0 trifft <u>nicht</u> zu)
Zusatznutzen wird als <u>nicht</u> vorhanden <u>angenommen</u> (H_0 wird <u>nicht</u> abgelehnt)	Richtige Entscheidung	β-Fehler (Fehler 2. Art)
Zusatznutzen wird als vorhanden <u>angenommen</u> (H_0 wird abgelehnt)	α-Fehler (Fehler 1. Art)	Richtige Entscheidung

- Voraussetzung für Status:
 - Schließen medizinischer Versorgungslücke
 - Sofortige Verfügbarkeit von besonderem Nutzen für die öffentliche Gesundheit
- Status nur gewährt bei Bestehen eines besonders hohen gesellschaftlichen Interesses
- Aktuelles Bewertungsmodell („one size fits all“) und standardisierte Evidenzperspektive => adäquate Beurteilung des therapeutischen Zusatznutzens?

Daher:

- Versorgungsperspektive aus arzneimittelrechtlichen auch auf sozialrechtlichen Kontext übertragen
- Sachgerechte und erfüllbare Anforderungen

- In der Regel bekannte Wirkstoffe, bislang vielfach Off-Label-Use
- Zulassung speziell für Kinder unter Berücksichtigung eines von der Europäischen Arzneimittelagentur EMA vorgegebenen Entwicklungsprogramms und Entwicklung kindgerechter Darreichungsform und Dosierung
- Unterliegen der vollen frühen Nutzenbewertung
 - Nutznachweis zur Vermeidung von zusätzlichen klinischen Studien an Kindern - falls möglich – vielfach über die Auswertung von Literaturdaten erbracht
 - Faktische Möglichkeit der Erfüllung der Anforderungen einer „vollen“ Nutzenbewertung?

Daher:

- Anpassungen der Verfahrensordnung
- Wettbewerbssituation in einem generischen Marktsegment bei der Festlegung der Anforderungen berücksichtigen, Kostenproblematik!

- Orphan Drugs haben es extrem schwer, regelhaft die Kriterien zu erfüllen, die für Arzneimittel für große Indikationsgebiete angelegt werden
- Beispiel Studien
 - Unterschiede im Design
 - äußerst geringe Patientenzahlen
 - Herausforderung Statistik
 - „Grenzen des Erkenntnisgewinns“ => Gefahr für β -Fehler besonders groß
- Nutzenbewertung von Orphan Drugs bislang vergleichsweise schwächer bewertet im Hinblick auf das Ausmaß des Zusatznutzens
- Gesetzliche Voraussetzung für Orphan-Status: keine Behandlungsalternative oder „erheblicher Nutzen“

- Anreize wirken - wenn konsistent!
- Besondere Therapiesituationen verlangen adäquate (oder angepasste) Bewertungsmethoden
- Angemessener Umgang mit Ergebnisunsicherheit – Folgen und Möglichkeit auch des β -Fehlers beachten!

Entscheidung	Wahrer Zustand	
	Zusatznutzen ist <u>nicht</u> vorhanden (H_0 trifft zu)	Zusatznutzen ist vorhanden (H_0 trifft nicht zu)
Zusatznutzen wird als <u>nicht</u> vorhanden angenommen (H_0 wird <u>nicht</u> abgelehnt)	Richtige Entscheidung	β-Fehler (Fehler 2. Art)
Zusatznutzen wird als vorhanden angenommen (H_0 wird abgelehnt)	α-Fehler (Fehler 1. Art)	Richtige Entscheidung



Vielen Dank für Ihre Aufmerksamkeit!

Dipl.-Kfm. Martin Völkl | Director Market Access & Public Affairs | Celgene GmbH | Joseph-Wild-Straße 20 | 81829 München

Telefon: +49 89 451519 230 | Fax: +49 89 451519 020 | Mobil: +49 172 26 897 03 | email: mvoelkl@celgene.com