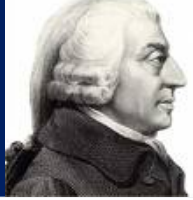




## **AMNOG-Fachtagung des G-BA**

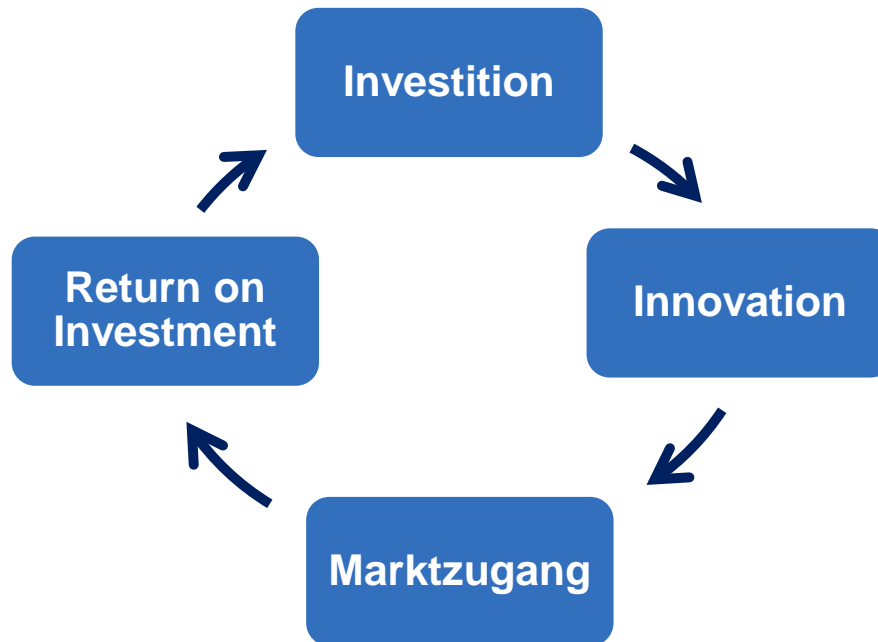
***Besondere Therapiesituationen –  
Bedingte Zulassung, Kinderarzneimittel  
und Orphan Drugs***

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

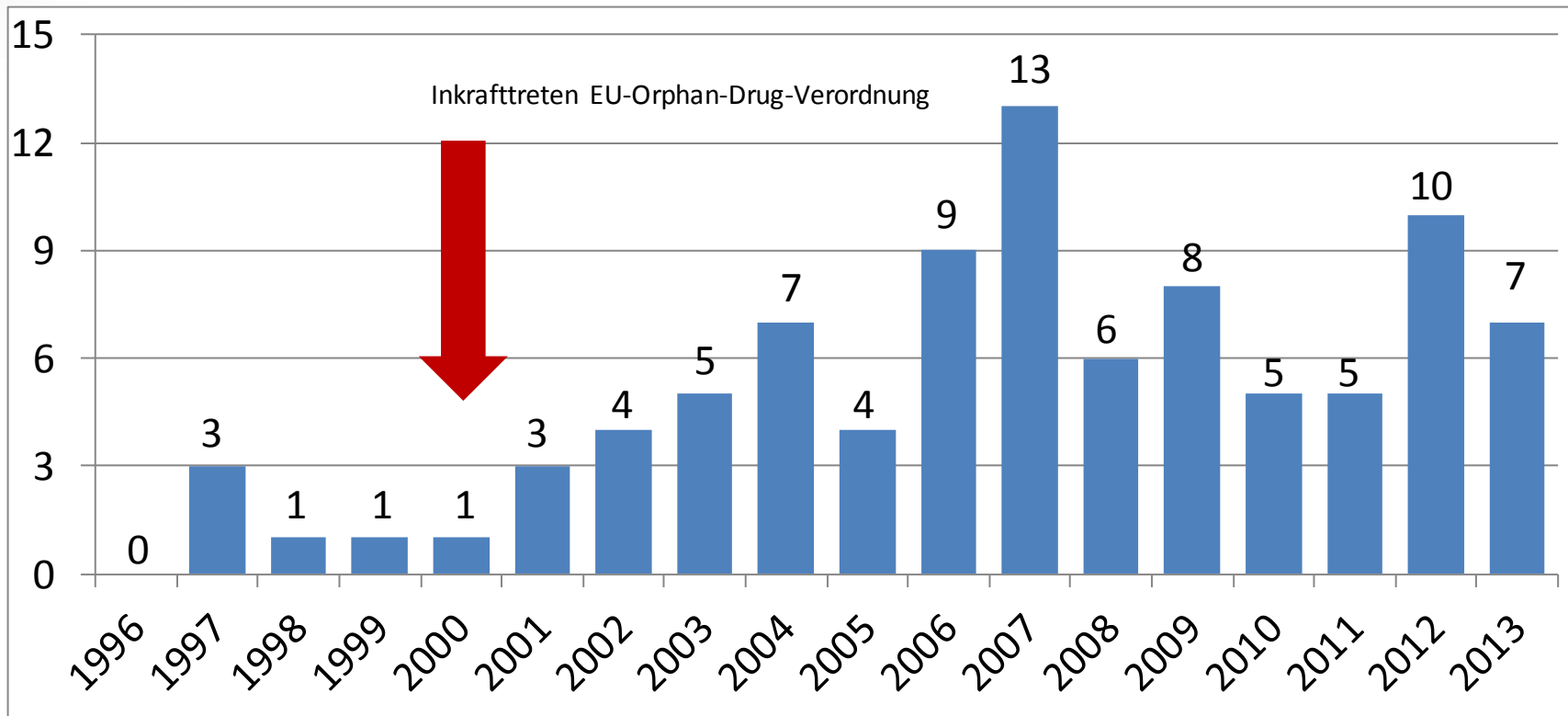


*„Nicht vom Wohlwollen des Metzgers, Brauers und Bäckers erwarten wir das, was wir zum Essen brauchen, sondern davon, dass sie ihre eigenen Interessen wahrnehmen.“*

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	<b><math>\beta</math>-Fehler</b> (Fehler 2. Art)
Zusatznutzen wird als vorhanden <u>angenommen</u> ( $H_0$ wird abgelehnt)	<b><math>\alpha</math>-Fehler</b> (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?

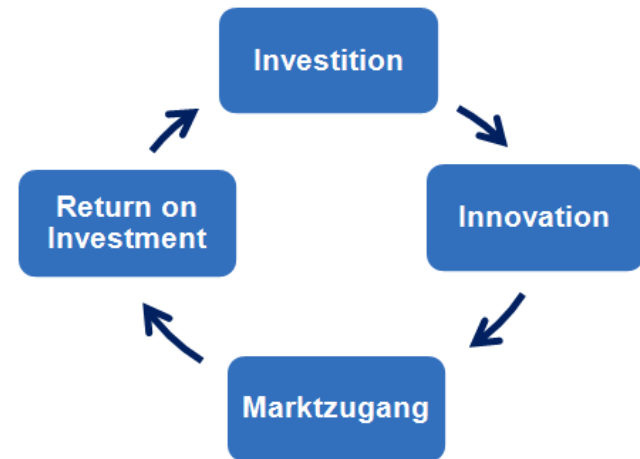
Daher:

- 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  $\beta$ -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  $\beta$ -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	<b><math>\beta</math>-Fehler</b> (Fehler 2. Art)
Zusatznutzen wird als vorhanden angenommen ( $H_0$ wird abgelehnt)	<b><math>\alpha</math>-Fehler</b> (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](mailto:mvoelkl@celgene.com)