

Evidenzbasierte Arzneimittelversorgung bei Seltenen Erkrankungen: die Rolle der Digitalisierung

Die Digitalisierung birgt Potenzial, geht es darum, die klinische Entwicklung zur Versorgung bei Seltenen Erkrankungen effizienter zu gestalten. Dies geht aus einem Beitrag hervor, in dem die Perspektiven zum Thema aus drei Institutionen des Gesundheitswesens zusammengeführt sind.

Bei der Wissensgenerierung im Bereich der Arzneimittelentwicklung für Menschen mit Seltenen Erkrankungen (SE) sind besondere Schwierigkeiten zu überwinden. Welche Verbesserungen durch eine zunehmende Digitalisierung erwartet werden, zeigen Frauke Naumann-Winter (Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte), Thomas Kaiser (Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen) und Antje Behring (Gemeinsamer Bundesausschuss) aus der Perspektive von drei Institutionen im Gesundheitswesen auf. Sie stellen das Potenzial der Digitalisierung vor, um auch durch eine früher einsetzende Zusammenarbeit aller Beteiligten die Effizienz der klinischen Entwicklung und der regulatorischen Entscheidungsprozesse zu erhöhen.

Sie argumentieren, dass mit Hilfe der Digitalisierung Hürden bei der Durchführung versorgungsnaher, auch registerbasierter, randomisiert kontrollierter Studien abgebaut werden sollten. Hochwertige Registerstudien sollten nicht erst nach der Zulassung, sondern bereits während des Zulassungsprozesses begonnen werden, damit die für Therapieentscheidungen notwendige Evidenz zeitnah nach Zulassung vorliegt.

Von Bedeutung: qualitativ hochwertige Indikationsregister

Abschließend stellen sie fest, dass die qualitative Verbesserung der Datenquellen und deren Vernetzung unmittelbar den Patientinnen und Patienten zugutekommt. Verwertbare Evidenz stellt eine effektive Arzneimittelversorgung sicher, wenn sie über einen längeren Zeitraum – auch über die Zulassung hinaus – generiert werden kann und geeignet ist, in Entscheidungen für das Gesundheitssystem einzufließen. Das Autorenteam ist sich einig, dass qualitativ hochwertige Indikationsregister als produktunabhängige, stehende Infrastrukturen entwickelt werden sollten, damit bereits früh in der Entwicklung von Arzneimitteln für Seltene Erkrankungen auf hochwertige Daten zurückgegriffen werden kann.

Weitere Informationen:

[Evidenzbasierte Arzneimittelversorgung bei Seltenen Erkrankungen: die Rolle der Digitalisierung](#)