

# Register als Forschungsbasis denken

Ein aktuelles Beispiel zeigt, wie ein gutes Register durch erhebliche Einschränkungen für vergleichende Forschung wertlos gemacht wurde.



Foto: peshkiv/Stock

Manche Arzneimittel, insbesondere solche gegen Seltene Erkrankungen (Orphan Drugs), gelangen auf einer dünnen Studiendatenbasis auf den Markt. Weitere Daten sollen dann während der Anwendung, also in der Versorgung, gewonnen werden. Dies geschieht allerdings nur selten. Seit 2019 kann der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) deshalb in bestimmten Fällen vom Hersteller eine anwendungsbegleitende Datenerhebung (AbD) fordern, um die Evidenzgrundlage für diese Arzneimittel zu stärken. Dafür entwickelt das IQWiG dann im Auftrag des G-BA ein Konzept, wie die AbD aussehen sollte, damit die so gesammelten Daten für einen Vergleich des neuen Arzneimittels mit der bisherigen Standardtherapie geeignet sind. Als Datenquellen kommen dafür insbesondere medizinische Register infrage. Voraussetzung ist dabei zum einen, dass die erhobenen Daten eine ausreichende Qualität haben. Zum anderen müssen für den Vergleich Behandlungsergebnisse sowohl von Patientinnen und Patienten erfasst werden, die das neue Arzneimittel erhalten haben, als auch von solchen, die die bisherige Standardtherapie erhalten haben.

## Datensilos innerhalb eines Registers

Beide Voraussetzungen (Qualität und umfangreiche Datenerhebung) sind beim Register der International PNH Interest Group (IPIG) erfüllt – und trotzdem ist das Register für den wichtigen Vergleich unterschiedlicher Therapien ungeeignet. Wie kann das sein? Die Antwort: Verträge mit den beteiligten pharmazeutischen Unternehmen sichern die Daten zu den einzelnen Wirkstoffen in Datensilos ab.

Im Detail: Seit Mai 2024 betreibt die IPIG, ein internationales Non-Profit-Netzwerk klinischer Expertinnen und Experten für die

Seltene Erkrankung paroxysmale nächtliche Hämoglobinurie (PNH), dieses Register. Die bisherige Standardtherapie zur Behandlung der PNH sind die Wirkstoffe Eculizumab und Ravulizumab. Jetzt gibt es einen neuen Wirkstoff, Iptacopan, für den das IQWiG mit einem AbD-Konzept beauftragt wurde.

Es zeigte sich, dass die im IPIG-Register enthaltenen Daten grundsätzlich für einen Vergleich von Iptacopan gegenüber Eculizumab oder Ravulizumab geeignet sind: Das Register dokumentiert alle PNH-Patientinnen und -Patienten, unabhängig von Krankheitsstadium, Behandlungsstatus oder Therapieart. Doch Vertraulichkeitsvereinbarungen mit den einzelnen Herstellern verhindern, dass dieser Datenschatz für Therapievergleiche genutzt werden darf. Innerhalb des Registers existieren isolierte Datensätze zu den einzelnen Wirkstoffen, Datensilos, die sich aus vertraglichen Gründen nicht zusammenführen lassen. Leidtragende dieser Blockade sind letztlich die Patientinnen und Patienten, die ihre Daten spenden, ohne dass diese für die Frage des Wirkstoffvergleichs verwendet werden können, die für sie selbst und für zukünftige Betroffene so wichtig ist.

Sollte die neue Bundesregierung das bereits länger geplante Registergesetz in der neuen Legislaturperiode auf den Weg bringen, so sollte sie dieser Praxis des IPIG-Registers unbedingt einen Riegel vorschieben – zum Wohle nicht nur der Patientinnen und Patienten, sondern auch der beteiligten Zentren, die Ressourcen in die Dateneingabe ins Register aufwenden. **Jens Flintrip, IQWiG**