idw - Informationsdienst Wissenschaft
Nachrichten, Termine, Experten

Press release

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG)
Jens Flintrop

10/06/2023
http://idw-online.de/en/news821901

Research results, Transfer of Science or Research
Medicine
transregional, national

Klinische Studien: Mit dem zweiten Arm sieht man besser

In einer Stellungnahme an die EMA betont das IQWiG: 1-armige Studien mögen für die Wirkstoff-Zulassung ausnahmsweise ausreichen – für Health Technology Assessments aber nicht. Sie behindern Verbesserungen der Versorgung, statt sie zu beschleunigen.

Das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) hat ein Reflexionspapier der European Medicines Agency (EMA) zur Marktzulassung neuer Wirkstoffe auf Basis 1-armiger Studien kritisch kommentiert.

Zwar stellt die EMA in ihrem Papier völlig richtig fest, dass Studien ohne Vergleichsarm mit Verzerrungen einhergehen und kausale Effekte auf dieser Basis im Allgemeinen kaum abgeschätzt werden können. Aber sie nennt keine klaren Kriterien zur Begrenzung der Zulassung auf Basis solcher Studien auf äußerst seltene Ausnahmesituationen.

Die FDA macht vor, wie es geht

Auch fehlt eine Empfehlung in Sachen externer Kontrollen – anders als in einem im Februar veröffentlichten Leitfaden der Food and Drug Administration (FDA) in den USA.

„Die FDA sagt klipp und klar, dass die Chancen, nur mit einer externen Kontrolle die Wirksamkeit eines Arzneimittels nachzuweisen, nicht gut stehen, und rät nachdrücklich zu einem Studiendesign mit interner Kontrolle – auch für seltene Erkrankungen“, erklärt Beate Wieseler, Leiterin des IQWiG-Ressorts Arzneimittelbewertung. „Sie benennt auch konkrete Situationen, in denen extern kontrollierte Studien generell ungeeignet sind, zum Beispiel, wenn der natürliche Verlauf der Krankheit nicht hinreichend bekannt ist oder stark variieren kann. Die EMA sollte diese Punkte in ihr Reflexionspapier aufnehmen.“

Beschleunigung der Zulassung ist kein Selbstzweck

Die Lage ist altbekannt: Zwar können 1-armige Studien in seltenen Fällen die Sicherheit und Wirksamkeit eines neuen Wirkstoffs gut genug belegen, um von Regulierungsbehörden eine Marktzulassung zu erhalten. Aber wenn es um den tatsächlichen Einsatz in einem Gesundheitssystem geht, muss der Wirkstoff mit bereits verfügbaren Behandlungsoptionen verglichen werden – und zwar möglichst bald.

„Indem die EMA öffentlich über die Möglichkeiten und Begrenzungen 1-armiger Zulassungsstudien sinniert, ohne aus deren Nachteilen Konsequenzen zu ziehen, erweist sie sowohl den Herstellern als auch den Patientinnen und Patienten einen Bärendienst. Effizient ist Arzneimittelentwicklung dann, wenn neue Wirkstoffe sofort adäquat in der Versorgung eingesetzt werden können. Dazu sollte man von Anfang an auf Studien setzen, die sowohl für die Zulassung als auch für die Einordnung in die Versorgungslandschaft mittels eines Health Technology Assessments (HTA) geeignet sind. Es kann nicht um einen beschleunigten Marktzugang an sich gehen, sondern um einen zügigen evidenzbasierten Zugang in die Versorgung – zum Nutzen der Patientinnen und Patienten“, so Wieseler.

URL for press release: https://www.iqwig.de/presse/pressemitteilungen/pressemitteilungen-detailseite_102656.html