

Bericht zum RDAF Multi-Stakeholder Workshop

«Post-Marketing Register für seltene Krankheiten»

21. September 2023, 14:00 – 17:00

Das Rare Disease Action Forum (RDAF) veranstaltete am 21. September 2023 in Basel einen Multi-Stakeholder Workshop zum Thema «Post-Marketing Register für seltene Krankheiten». Am Anlass nahmen VertreterInnen von Patienten- und Forschungsorganisationen, Industrie, GesundheitsexpertInnen, gemeinnütziger Vereine und Akteure aus dem Bereich der digitalen Gesundheit teil.

Zusammenfassung der diskutierten Empfehlungen



Stakeholder Einbezug

- Alle relevanten Stakeholder sollten möglichst früh einbezogen werden.
- Neben der Firma sind folgenden Akteure zu involvieren: PatientInnen und deren Angehörigen, Patientenorganisationen, GesundheitsexpertInnen, Spitäler, andere Unternehmen, öffentliche Behörden (BAG und Kantone), Ethikkommissionen, Versicherer.
- Es bedarf einer Governance-Struktur/eines harmonisierten Prozesses, um den Einbezug zu gewährleisten.



Zweckmässigkeit

- Der Zweck des Post-Marketing Registers (PMR) muss klar und realisierbar sein.
- Indikationsspezifische Register sind zu bevorzugen, da sie den Aufwand für PatientInnen und die Datenerhebung reduzieren, die Aussagekraft des Registers verbessern, zusätzliche Finanzierungsquelle bringen und die Datenverwendung vereinfachen.
- Klare Richtlinien und Kriterien sind nötig, um die Notwendigkeit eines nationalen Registers zu bewerten und die Prozesse zu harmonisieren und verbessern.
- Fragen betreffend die Datenerhebung und -verwendung müssen vom Anfang an geklärt werden.



Zielsetzung

- Die Ziele eines PMR sollten möglichst langfristig und von Anfang an von den verschiedenen Stakeholdern gemeinsam definiert werden.
- Eine gewisse Flexibilität ist dennoch nötig, um die Anpassungsfähigkeit des Registers zu bewahren.
- Post-Marketing Register sind nicht immer das passende Tool zur Bewertung der Wirksamkeit, Zweckmässigkeit und Wirtschaftlichkeit Kriterien.



Führung

- Die Führung eines PMR sollte möglichst unabhängig sein; unterschiedliche Optionen sind vorhanden z.B. die Führung durch eine Forschungsorganisation / eine unabhängige Firma.

- Das Führungsmodell soll mit einem breiten Zugang zu den Daten kompatibel sein.



Finanzierung

- Eine Multi-Stakeholder Finanzierung ist nötig, um die unabhängige und langfristige Führung des PMR zu ermöglichen.
- Die Finanzierung sollte dem Nutzen des PMR für die Akteure entsprechen; eine Mischung aus öffentlichen und privaten Geldquellen ist in Betracht zu ziehen.
- Die Finanzierung eines PMR muss transparent sein.
- Finanzielle Abhängigkeiten sollten vermieden werden.



Datenerhebung / -verwendung

- Eine erhöhte Interoperabilität ist notwendig, um die Datenerhebung effizienter zu machen. Die mangelnde Digitalisierung des schweizerischen Gesundheitswesens erschwert zurzeit die Datenerhebung und erhöht den Aufwand. Das endgültige Ziel soll eine einmalige Datenfassung sein, im Rahmen eines harmonisierten Datenökosystems, in dem alle Gesundheitsdaten erfasst und verwaltet werden.
- Die Internationale Anbindung des Registers sollte unbedingt berücksichtigt werden.
- Musterverträge für die Datenerhebung und -verwendung können einen breiteren Zugang zu den Daten von PMR ermöglichen.

1. Begrüssung, Shayesteh Fürst-Ladani (RDAF Präsidentin)

Shayesteh Fürst-Ladani eröffnete die Veranstaltung und begrüßte alle TeilnehmerInnen. Sie erklärte den Multi-Stakeholder Ansatz des RDAF, der es dem Verein ermöglicht, eine neutrale Plattform für den ganzheitlichen Austausch von Ideen und die Erarbeitung eines lösungsorientierten Vorgehens anzubieten, mit dem Ziel, den Zugang zu Diagnose, Therapie und Pflege für PatientInnen mit seltenen Krankheiten in der Schweiz zu verbessern. Die Präsidentin betonte, dass diese kollaborative Herangehensweise des RDAF die Diskussionen zwischen allen im Bereich seltener Krankheiten tätigen Akteuren zu wichtigen Themen wie den PMR fördert.

2. Einleitung, Nathalie Schober-Ladani (Co-Moderatorin, RDAF Sekretariat)

Nathalie Schober-Ladani erläuterte, wie die Idee für den Workshop aus dem Austausch zwischen den RDAF Mitgliedern über PMR und deren Herausforderungen entstanden ist.

Hindernisse für die Einrichtung von PMR und Verwendung von Daten







Sie legte dar, dass vermehrt Auflagen zur Erhebung von Gesundheitsdaten in ein PMR nach der Markteinführung durch das Bundesamt für Gesundheit (BAG) veranlasst werden, um zusätzliche Daten zur Sicherheit, Wirksamkeit sowie zur Anwendung des Produkts zu erheben. Sie listete die wichtigsten Hürden für die Erhebung von Daten und deren Wiederverwendung auf. Das Aufsetzen eines PMR im Rahmen von Vergütungsverhandlungen, falls so eines noch nicht existiere, könne zu einem verzögerten Zugang für PatientInnen führen. Darüber hinaus bleibe der Einbezug von relevanten Stakeholdern, u.a. PatientInnen und -organisationen, ÄrztInnen und Spitalern, begrenzt, was deren Teilnahme erschwerte. Insbesondere der Mehraufwand der Erhebung der Daten in den

Behandlungszentren, sowie fehlende Ressourcen zur Registerführung seien ein Problem. Die fehlenden Richtlinien schränken die Datenverwendung und die Interoperabilität von Registern ein und führen zur Entstehung von Silos. Hinzu komme, dass die langfristige Finanzierung von PMR oft nicht gewährleistet sei.

Ziel und Aufbau des Workshops

Nathalie Schober-Ladani erklärte, dass der Workshop darauf abziele, Diskussionen über Prinzipien zur Einrichtung und zum Management von PMR zu fördern. Diese Prinzipien wurden vorgängig durch eine RDAF Arbeitsgruppe in einem Multi-Stakeholder Ansatz entwickelt und in Vorbereitung des Workshop mit ausgewählten Stakeholders durch Interviews verfeinert.

Prinzipien für die Einrichtung und Führung von PMR

-  Ein Post-Marketing Register kann nur eingesetzt werden, wenn es **eine zweckmäßige Lösung** für eine wissenschaftliche Frage darstellt.
-  Ein Post-Marketing Register muss **realisierbare Ziele** in einem **vorgegebenen Zeitrahmen** haben.
-  Die **Einbindung aller Stakeholder** muss **frühzeitig** stattfinden, um die Akzeptanz zu fördern und die Bereitschaft zur Teilnahme zu erhöhen.
-  Registerbetrieb und Datennutzung, -zugang, -analyse und -eigentum müssen durch ein **Governance- und Zustimmungssystem** definiert werden.
-  **Bestehende Datenspeicher** werden genutzt, um die Datenerfassung zu vereinfachen und Synergien zu fördern.
-  Das Register muss **nachhaltig finanziert werden**, idealerweise durch eine **Multi-Stakeholder-Finanzierung**.

Die Teilnehmenden wurden eingeladen, sich zu verschiedenen Aufgabenstellungen auszutauschen, dies unter Zuhilfenahme eines Jam Boards.

3. Das Schweizer Register für seltene Krankheiten (Cheryl von Arx, Universität Bern)

Cheryl von Arx erläuterte die Zielsetzungen des Schweizer Registers für seltene Krankheiten (SRSK), nämlich Betroffene in den Gesundheitsstatistiken und der Gesundheitsforschung sichtbar zu machen und deren Teilnahme an Studien zu erleichtern, Kenntnisse über seltene Krankheiten zu erheben und zu verbreiten, Forschungsaktivitäten zu fördern und Netzwerke aufzubauen. Sie legte die verschiedenen vom SRSK verwendeten Datenquellen dar und teilte Überlegungen zum Datenschutz und zur Datenhoheit. Anschliessend wurden verschiedene Aspekte dargestellt, in denen das SRSK zu Post-Marketing Aktivitäten beitragen könne, wie etwa bei der Erhebung von klinischen Daten, hinsichtlich der Analyse und Berichterstattung sowie in beratender Funktion. Cheryl von Arx betonte, dass Stakeholder früh zu involvieren seien und eine Finanzierung mittelfristig gewährleistet werden sollte. Abschliessend hob sie wesentliche Hürden für PMR hervor, wie etwa die späte Involvierung von relevanten Akteuren und die Finanzierung der Register.

4. Diskussionen im Plenum

Nach der Einleitung und der Präsentation tauschten sich die Teilnehmenden zu verschiedenen Aspekten von PMR für seltene Krankheiten aus. Die Diskussionen wurden durch das RDAF Sekretariat moderiert.



Stakeholdereinbezug

Die Teilnehmenden waren sich darüber einig, dass der Einbezug der verschiedenen Stakeholder möglichst früh stattfinden sollte. Es wurde betont, dass nicht nur Patientenorganisationen, sondern auch PatientInnen und Ihre Angehörigen, involviert werden sollten, da sie über wichtiges Wissen verfügen. In dieser Hinsicht wurde darauf hingewiesen, dass Referenzzentren, ÄrztInnen und Patientenorganisationen eine wichtige Rolle in der Kommunikation mit PatientInnen und deren Rekrutierung und Akzeptanz des PMR spielen. Es wurde vorgeschlagen, internationale Dachverbände für Patientenorganisation zu involvieren, wenn keine nationale Organisation besteht. Darüber hinaus wurde hervorgehoben, dass Spitäler und ÄrztInnen für die Definition der klinischen Parameter einbezogen werden sollten; die Verhandlungen könnten auf Spitalebene stattfinden, da Spitäler Prozesse und Rahmenbedingung für die Teilnahme an Register entwickelt haben. Teilnehmenden erwähnten, dass sowohl die/der behandelnde Ärztin/Arzt als auch andere Gesundheitsexperten, z. B. Krankenpfleger oder PhysiotherapeutInnen, sich an den Diskussionen zum Register beteiligen könnten. Die Rolle der öffentlichen Behörden, bzw. des BAG und der Kantone, wurde ebenfalls angesprochen und Teilnehmenden drückten den Wunsch für deren verstärkte Teilnahme aus. Schliesslich wurde über den Einbezug weiterer Stakeholder, u.a. Versicherer und Ethikkommissionen, diskutiert.

Anschliessend tauschten sich die Teilnehmer über Prozesse aus, um den Einbezug dieser Akteure zu gewährleisten. Verschiedene Stakeholder waren der Ansicht, dass das BAG hier eine wesentliche Rolle spielen könnte, um alle relevanten Interessengruppen zu versammeln und die Diskussionen zu fördern. Andere Teilnehmenden unterstrichen, dass die Unternehmen die Führung haben sollten, was nichtsdestotrotz mit Hindernissen verbunden ist, die u.a. mit dem Wettbewerbsrecht zu tun haben. Die Diskussionen zeigten, dass frühzeitige Austausch in einem Multi-Stakeholder Ansatz nötig sind, damit die verschiedenen Interessen unter ein Dach gebracht werden können.



Zweckmässigkeit

Alle Teilnehmenden teilten die Ansicht, dass indikationsspezifische Register arzneimittelspezifischen Register zu bevorzugen sind, um existierenden Silos abzubauen und Doppelspurigkeit und Mehraufwände zu vermeiden. Indikationsspezifische Register haben nämlich mehrere Vorteile, u.a. reduzierter Aufwand für PatientInnen und Datenerhebenden, erhöhte Aussagekraft, zusätzliche potenziellen Finanzierungsquellen und vereinfachte Datenverwendung und -wiederverwendung.

Teilnehmende forderten mehr Klarheit von den Behörden, wann ein internationales Register verwendet werden kann bzw. wann/warum ein nationales Register unabdingbar ist. Sie setzten sich für die Erarbeitung von Leitlinien ein, die zur Harmonisierung der Prozesse führen könnten. Es wurde vorgeschlagen, bereits vorhanden Leitlinien zu nutzen, unter der Voraussetzung, dass sie an die Besonderheiten seltener Krankheiten angepasst werden. Stakeholder waren sich uneinig, inwieweit die Behörde in der Erarbeitung von Leitlinien mitwirken sollen.

Zum Schluss wurde betont, dass die Datenquellen, die Bedingungen zur Bewilligung und die Datenverwendung vom Anfang an definiert werden sollten, um sicher zu stellen, dass das Register sein(e) Ziel(e) erreichen kann.

Zielsetzung

Es wurde von den Stakeholdern bevorzugt, den Registern möglichst langfristige und vertragliche Ziele zu setzen, da eine Änderung der Ziele mit Kosten und Aufwand verbunden ist. Es wurde trotzdem hervorgehoben, dass die Akteure unterschiedliche Objektiven haben und dass sich die Ziele eines PMR ändern könnten. Daher sprachen sich die Teilnehmenden für ein Gleichgewicht zwischen der Stabilität der Zielsetzung und einer gewissen Flexibilität zur Anpassung, z.B. falls neue wissenschaftliche Fragen auftauchen.

Die Stakeholder stellten in Frage, ob ein PMR die passende Lösung sei, um die Wirksamkeit, Zweckmässigkeit und Wirtschaftlichkeit Kriterien zu überprüfen. Darüber hinaus wurde eingewandt, dass die Zeitpläne für die Datenerhebung den Zeitplänen zur Bewertung von Arzneimitteln nicht entsprechen. Das Fehlen klinischer Daten wurde ebenfalls als Hindernis für die Entwicklung und Zweckmässigkeit der PMR angesprochen.

Eigentum / Führung

Die Teilnehmenden erläuterten, dass verschiedene Modelle zur Führung von PMR und zur Koordination zwischen den Stakeholder existieren. Der Begriff von 'Eigentum' wurde von mehreren Teilnehmenden als unpassend betrachtet, da es sich mehr um die Frage der Verantwortlichkeit dreht. Die Akteure befürworteten eine unabhängige Führung des Registers, z.B. durch Forschungsorganisationen oder eine Drittfirma. Die Teilnehmenden plädierten für rasche Lösungen betreffend die Führung des Registers, um durch sich in die Länge ziehende Verhandlungen verursachte Verzögerungen für PatientInnen zu vermeiden.

Es wurde mehrmals betont, dass die Daten den PatientInnen gehören. Die Teilnehmenden riefen zu einer Lösung auf, die einen möglichst breiten Zugang zu den Daten ermöglicht.

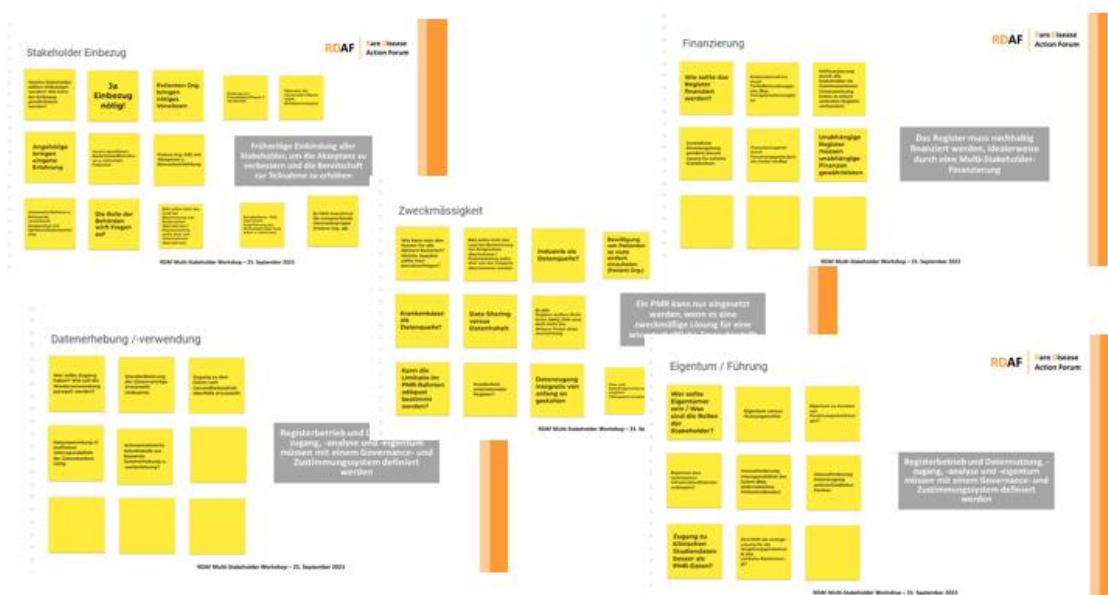
Finanzierung

Im Einklang mit den Diskussionen zur Registerführung bevorzugten die Teilnehmenden eine Multi-Stakeholder Finanzierung, die gewährleisten würde, dass das Register gleichzeitig unabhängig und langfristig finanziert ist und dass die Finanzierung dem Nutzen des Registers für die verschiedenen Stakeholder entspricht. Verschiedene Modelle wurde erwogen, wie z.B. der Einbezug der Registerkosten in den Arzneimittelpreis, wie dies bereits für das Transplantationsregister umgesetzt wurde. Möglichkeiten für eine öffentliche Finanzierung wurden erwähnt, u.a. im Kontext des zukünftigen Bundesgesetzes über seltene Krankheiten, obwohl klar wurde, dass diese Quellen nicht ausreichen und zusätzliche Finanzierungsmöglichkeiten nötig sind. Die Teilnehmer unterstrichen auch die Notwendigkeit der Transparenz über die Registerfinanzierung. Zusätzlich waren sich die Teilnehmenden einig, dass eine Finanzierung durch die Pharmaindustrie ein Risiko für die Nachhaltigkeit des Registers ist, sowie das Risiko von Abhängigkeiten birgt und somit Interessenkonflikte ergibt.

Datenerhebung / -verwendung

Es wurde betont, dass die Datenerhebung zurzeit ineffizient ist, dies vor allem aufgrund mangelnder Digitalisierung und des mit der Datenerhebung verbundenen Aufwands für die Spitäler und ÄrztInnen. Die Stakeholder forderten mehr Interoperabilität der verschiedenen Datenquellen und Register. Es wurde argumentiert, dass das Ziel eine einmalige Datenerfassung (Once-Only-Prinzip) sein sollte, was unter den existierenden Bedingungen noch nicht möglich sei.

Die Teilnehmenden sprachen sich für einen breiteren Zugang zu den Daten von PMR aus. Musterverträge für die Datenerhebung und -verwendung wurde als mögliche Lösung erwähnt, um den Zugang zu erweitern und den Aufwand zu reduzieren.



5. Ausblick und nächste Schritte

Die ModeratorInnen bedankten sich für den reichen Austausch im Verlauf der Diskussionen und für die aktive Beteiligung aller Teilnehmenden. Nach dem Workshop wird das RDAF die wichtigsten Diskussionspunkte und Lösungsansätze aufnehmen und den Dialog mit allen Akteuren fortführen, um die Harmonisierung und Verbesserung der Prozesse für die Einrichtung und Führung von PMR zu fördern sowie Lösungen zu definieren, damit die Daten von den Registern zugänglich und wiederverwendet sein können.

Über das Rare Disease Action Forum

Das Rare Disease Action Forum ist eine gemeinnützige Multi-Stakeholder-Organisation in der Schweiz, dessen Ziel es ist, das Leben von PatientInnen mit seltenen Krankheiten zu verbessern. Unser einzigartiger kooperativer Ansatz bietet Experten auf dem Gebiet seltener Krankheiten eine Plattform für einen ganzheitlichen Austausch von Ideen und der Erarbeitung gemeinsamer Ansätze um PatientInnen den Zugang zu Diagnose, Behandlung und Pflege zu erleichtern. Das RDAF setzt sich zusammen aus Mitgliedern von Patientenorganisationen, Spitälern, Forschungsorganisationen, Industrie und GesundheitsexpertInnen. Falls Sie mehr über das RDAF und dessen Aktivitäten erfahren möchten, können Sie gerne [unsere Website](#) besuchen, uns [auf sozialen Medien](#) folgen oder direkt kontaktieren (info@rda-forum.org).

RDAF Mitglieder

<p>Industrie</p>	<p>Patienten-organisationen</p>
	<p>Gesundheits-ExpertInnen</p> <p>Centre Hospitalier Universitaire Vaudois CHUV Forschungszentrum für das Kind Univ. Children Hospital Zurich Prof. Dr. Pascal Escher Inselspital Prof. Dr. Philipp Latzin Inselspital</p>
	<p>Forschungs-organisationen</p>