

Real World Data in der Klinischen Forschung

28. November 2023

Am 28.11.2023 fand erstmals unser neues Online-Seminar zum Thema „Real World Data in der Klinischen Forschung“ statt – ein hochaktuelles und zukunftsweisendes Thema. Unsere drei Referierenden, Dr. Angela Ibal-Mulli, Alexander Maur und Dr. Michael Schultze, haben den Seminartag spannend gestaltet.

Los ging es, nach einer Vorstellungs- und Erwartungsrunde, mit den wichtigen Begriffsdefinitionen Real World Data (RWD) und Real World Evidence (RWE). Herr Dr. Schultze, Director of Real-World Evidence & Safety Data Analytics am ZEG Berlin, beschrieb im Anschluss den Paradigmenwechsel, der innerhalb der klinischen Forschung festzustellen ist, und welche große und auch wachsende Bedeutung hierbei RWD und RWE haben. Basierend auf einer von ihm durchgeführten Umfrage mit Decision Makers konnte er zum Einstieg in die Thematik auch zeigen, dass es für die Industrie immer wichtiger wird, sich mit dieser Thematik zu beschäftigen – siehe Abbildung 1.

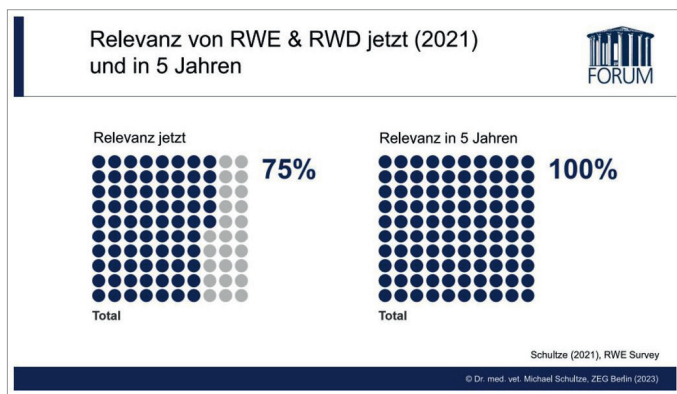


Abbildung 1

In diesem Zusammenhang wurden auch die dadurch entstehenden Herausforderungen besprochen, welche Lösungsansätze es derzeit gibt und wie die Industrie plant, auf die neue Situation zu reagieren. Neben einem interessanten Rückblick, wie sich die RWE-Forschung innerhalb der letzten Jahre entwickelt hat, wurde aber auch der Blick in die Zukunft gerichtet und zum Beispiel auf die Bedeutung des im laufenden Verfahren befindlichen „Gesundheitsdatennutzungsgesetzes“ verwiesen.

Auch wichtige Grundlagen wurden in diesem Seminar erläutert: Hinsichtlich der genutzten Daten muss zwischen Primär- und Sekundärdaten unterschieden werden. Primärdaten werden speziell zur Beantwortung von Studienzielen erhoben, z. B. in prospektiven nicht-interventionellen Studien. Sekundärdaten (z. B. Abrechnungsdaten) hingegen wurden bereits für andere Zwecke erhoben und können weiterführend genutzt werden. Letztere haben den Vorteil, dass sie zum Beispiel sofort verfügbar und kostengünstiger sind – dafür aber im Umgang auch ein spezielles Know-How voraussetzen, das man für die fachgerechte Umsetzung der Studien letztendlich benötigt.

Neben den Rahmenbedingungen wurden auch die Spezifikationen von Real-World Data thematisiert. Kurzum: Wie werden Zugangsmöglichkeiten zu Sekundärdaten identifiziert und bewertet? Wem gehören eigentlich die Daten? Wie und wem dürfen diese zugänglich gemacht werden? Wie liegen die Daten vor (Vollständigkeit, Format, etc.)? In diesem Zusammenhang wurden sowohl von Herrn Dr. Schultze als auch von Frau Dr. Ibal-Mulli erste, kleine ‚Machbarkeitsstudien‘ der Daten empfohlen, also ein erster Einblick in die Daten anhand eines Beispiels aus der Praxis. Zur konkreten Einbindung von RWD in ein Forschungskonzept unterstrich Dr. Schultze die Bedeutung einer klaren Zielsetzung und Strategie, sowie die rechtzeitige Planung und Konsultation von Behörden und Expert*innen. Zudem sei eine gute Kommunikation mit internen sowie externen Stakeholdern unabdingbar.

Herr Maur, Rechtsanwalt und Fachanwalt für Medizinrecht der Kanzlei am Ärztehaus, ging im Folgenden auf den Rechtsrahmen von RWD und RWE ein. Insbesondere beleuchtete er dabei minimalinterventionelle klinische Prüfungen und nicht-interventionelle Studien nach CTR und AMG, sowie die Anforderungen an mobile Apps und Software im Rahmen der Medizinprodukteverordnung. Auch das Thema Datenschutz, Pseudonymisierung und Joint Controllershship sprach er an. Hier konnten einige Fragen von Teilnehmenden beantwortet werden, so dass Fallbeispiele in der gesamten Gruppe diskutiert wurden.

Interessante Insights zu praktischen Herausforderungen bei der Arbeit mit RWD gab im Anschluss Frau Dr. Ibal-Mulli, Managing Director Germany & Global Head of Real World Evidence bei EMMES Biopharma. Sie betonte die Bedeutung, sowie die großen Chancen von RWD-Studien, da diese die Möglichkeit bieten, viel größere Populationen zu erfassen im Vergleich mit randomisierten Studien unter strengen Ausschlusskriterien (siehe z.B. Mauricio D, Westerbacka J, Nicholls C, Wu J, Gupta R, Eliasson B. How many people with type 2 diabetes fulfil the eligibility criteria for randomized, controlled trials of insulin glargine 300 U/mL in a real-world setting?. Diabetes Obes Metab. 2021;23(3):838-843. doi:10.1111/dom.14264).

Unter Verwendung von RWD sind auch neue Studiendesigns möglich, wie Frau Dr. Ibal-Mulli erläuterte (Abb. 2). Welches Design dabei zielführend ist und welche Daten ausgewählt werden, kann nach Top Down oder Bottom up-Herangehensweise entschieden werden. Bei Ersterem steht der Zweck der Studie im Vordergrund, bei Zweiterem die Datenquellen, die zur Verfügung stehen. Hierbei wurde auch nochmals der genaue Blick auf die Daten empfohlen bzgl. Qualität und Validierung; Stichwort „fit for purpose“ Daten. Anhand mehrerer praktischer Case Studies aus den letzten Jahren diskutierte die Gruppe die Herausforderungen und Lösungen zur Durchführung von RWD-Studien.

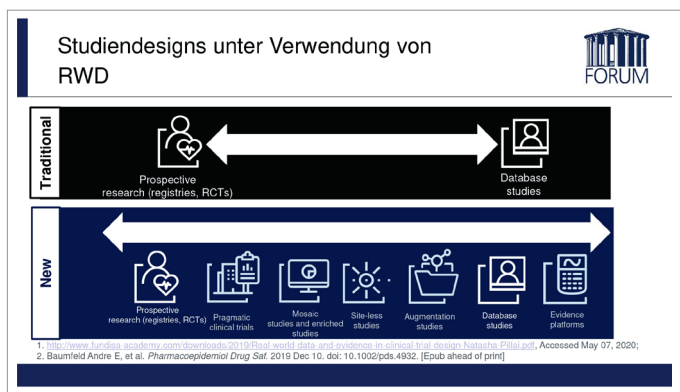


Abbildung 2

Mit wertvollen Ratschlägen für Projektleiter*innen und ohne zu sehr auf Details im Datenmanagement einzugehen, sprach Herr Dr. Schultze wichtige Überlegungen und Vorgehensweisen im Umgang mit RWD an – insbesondere, wenn diese zum ersten Mal Verwendung finden sollen. Er riet dazu, auch bereits in der ersten explorativen Phase die gewohnten Standards einzuhalten sowie medizinische Expert*innen hinzuzuziehen. Gerade die Arbeit mit noch unbekannten Quellen von Sekundärdaten wird oft zu einer „Fleiß- und Detailarbeit“, wenn diese bereinigt und vorbereitet, sowie erste Analysen durchgeführt werden. Er betonte auch, die Limitationen zu beachten; auch sollte man sich immer vor Augen führen, wofür diese Daten ursprünglich erhoben und welche Faktoren eventuell gar nicht beachtet wurden (Erhebung bestimmter klinischer Parameter, Datenstruktur, etc.).

Um RWD zu interpretieren, bedarf es also immer des Kontexts der Daten. Bias und Verzerrungen müssen dabei beachtet werden und Vergleichsgruppen helfen bei der Einordnung von Ergebnissen. Letztendlich ist auch der Abgleich mit der Praxis durch medizinische Expert*innen unerlässlich.

Zum Abschluss gab Frau Dr. Ibal-Mulli noch einen kurzen Exkurs zur Datenerhebung und Datenlage von RWD außerhalb Deutschlands. Sie stellte dabei Europäische Initiativen wie das ENCePP oder DARWIN EU vor, sowie landesspezifische Netzwerke aus Finnland, der Schweiz und Frankreich. Der Vorsprung der USA in diesem Feld ist jedoch nicht von der Hand zu weisen. Ausschlaggebend dafür sind frühere gesetzliche Regelungen, größere (kommerziell) erhältliche Datensätze, weniger Bedenken bzgl. des Datenschutzes und innovative Technologien für Tokenization und Data Linkage.

Einer internationalen, gemeinsamen Datennutzung stand Frau Dr. Ibal-Mulli eher pessimistisch gegenüber, da universal akzeptierte Methoden und Datenstandards noch fehlen. Datensicherheit wird global sehr unterschiedlich reguliert und (noch) ist der Markt rund um RWD sehr kompetitiv, da sich große Potenziale abzeichnen. Umso wichtiger sei es, die Chancen von RWD und RWE in Deutschland aktuell zu realisieren und Kompetenzen aufzubauen.

Unser Dank an dieser Stelle geht an Frau Dr. Angela Ibal-Mulli sowie Herrn Alexander Maur und Herrn Dr. Michael Schultze für einen hoch informativen Seminartag, einsichtsreiche Vorträge und die Beantwortung aller Fragen rund um RWD!

Autorin

Dr. Verena Klüver
Konferenzmanagerin Pharma & Healthcare
v.kluever@forum-institut.de

(überarbeitet von Dr. Michael Schultze)