



EU-HTA Informationsveranstaltung

Herausforderungen und Chancen der EU-Zusammenarbeit – Sichtweise des klinisch tätigen Arztes – Beispiel Onkologie

Prof. Dr. med. Katja Weisel

Stellv. Direktorin, II. Medizinische Klinik, Onkologie, Hämatologie, UKE, Hamburg

Stellv. Direktorin des Universitären Cancer Center Hamburg

Academia

Forschende
PU

Klinische
Studie

Ziel: Behandlung verbessern

- Orientiert am klinisch-wissenschaftlichen Innovationsdruck
- Endpunkte: Indikations- und zulassungsorientiert, orientiert an wissenschaftlicher Fragestellung, unmet need, globale Zulassungsstrategie
- Wissenschaftliches Ziel: Hochrangige Publikation

Erkrankung

Klinisch unterschiedliche Endpunkte

- heilbar – unheilbar
- chronisch verlaufend - fatal
- symptomarm - symptomlastig
- viele oder wenige Behandlungsmöglichkeiten - unmet need

Bundesober-
behörden

2 Oberbehörden in Deutschland

- Beeinflussen Studiendesign
- Beeinflussen den Studienstandort
- Von außen wenig Datenaustausch



Ziel: Optimale Versorgung

- schneller, sicherer und uneingeschränkter Zugang zur Innovation
- bestmögliche Behandlung nach dem wissenschaftlichen Kenntnisstand

Zulassungs-
behörde

EU-weite Zuständigkeit

- Beeinflusst Studiendesign
- Beeinflusst Verfügbarkeit und deren Geschwindigkeit
- Agiert unabhängig von der FDA

EU-HTA

?

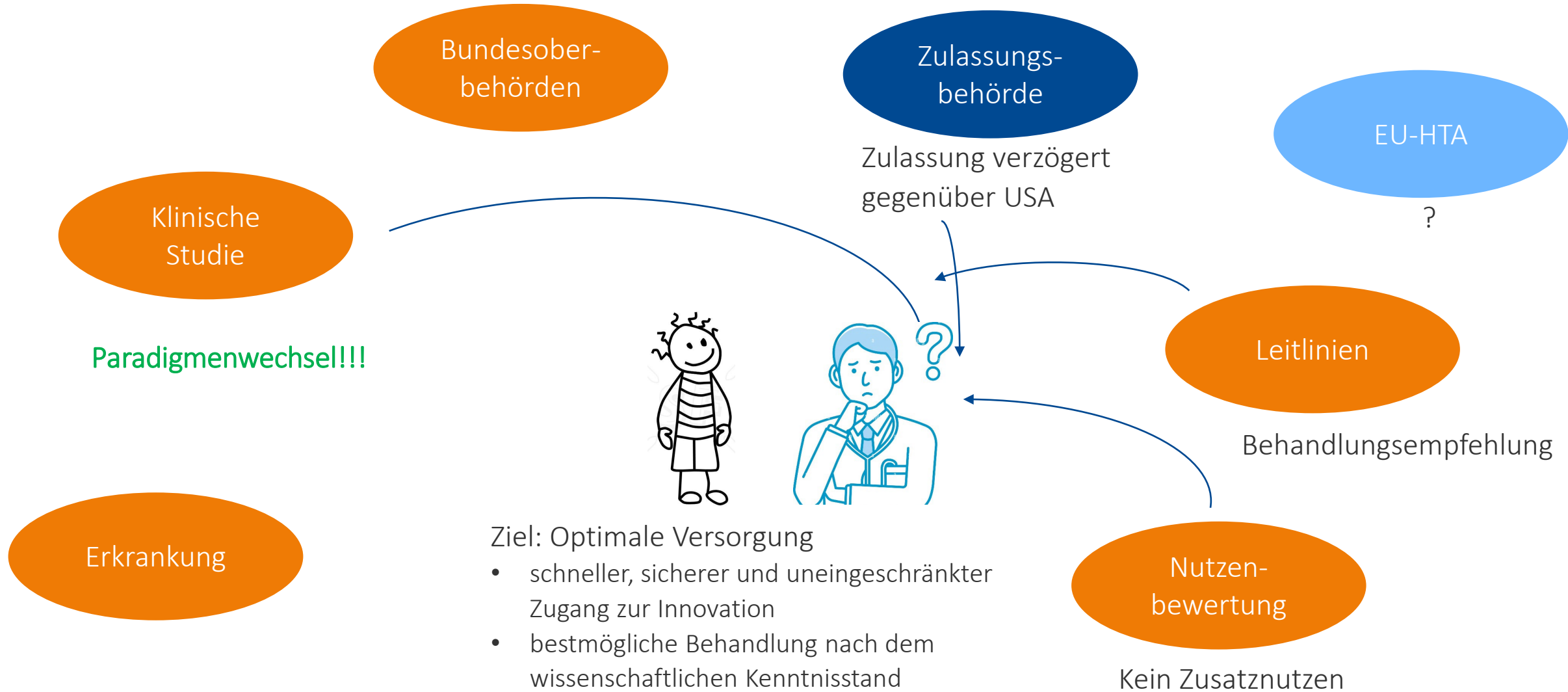
Leitlinien

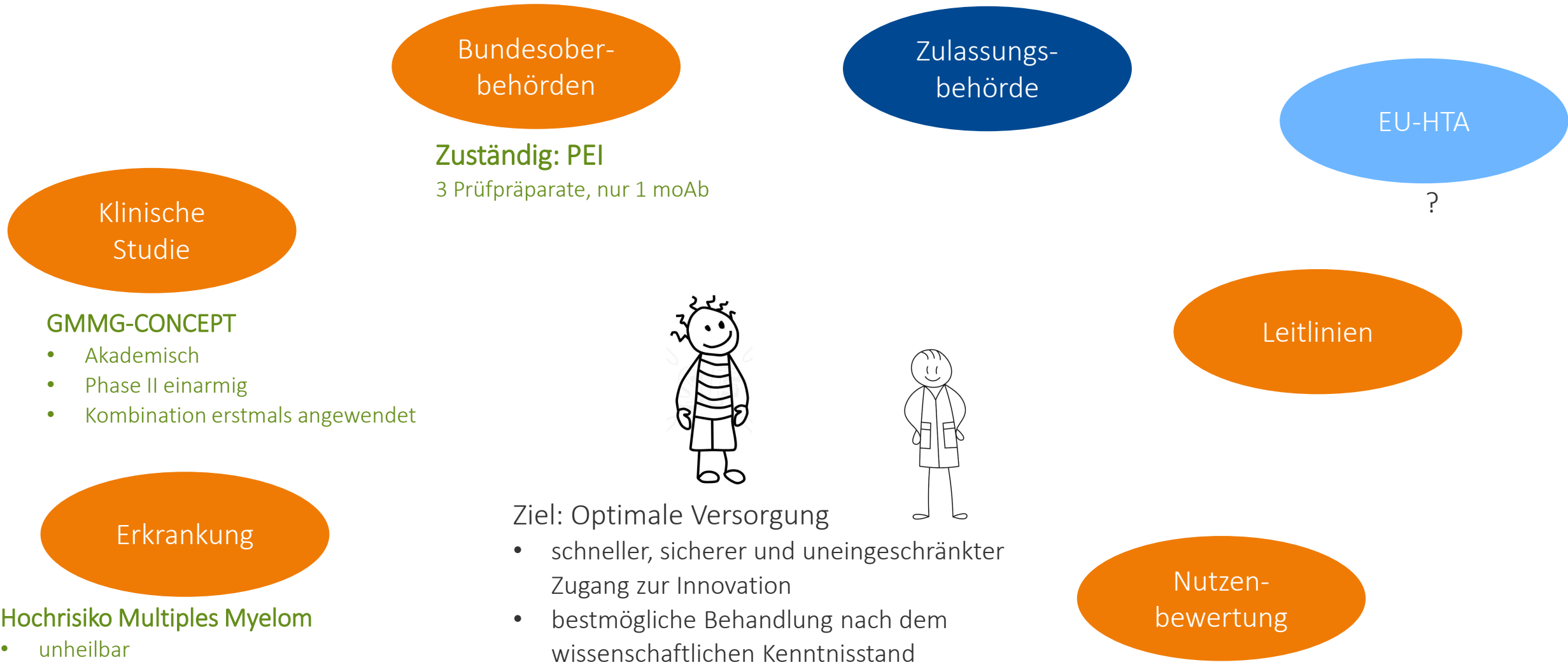
Behandlungsempfehlung

- Orientieren sich an der Zulassung und der wissenschaftlichen Erkenntnis

Nutzen-
bewertung

Indikationsunabhängige Bewertungskriterien nach definierten Kriterien
Entscheidet über Marktverfügbarkeit





Original Reports | Hematologic Malignancy

Isatuximab, Carfilzomib, Lenalidomide, and Dexamethasone for the Treatment of High-Risk Newly Diagnosed Multiple Myeloma

Lisa B. Leyboldt, MD¹; Diana Tichy, PhD²; Britta Besemer, MD³; Mathias Hänel, MD⁴; Marc S. Raab, MD⁵; Christoph Mann, MD⁶; Markus Munder, MD⁷; Hans Christian Reinhardt, MD⁸; Axel Nogai, MD⁹; Martin Görner, MD¹⁰; Yon-Dschun Ko, MD¹¹; Maïke de Wit, MD¹²; Hans Salwender, MD¹³; Christof Scheid, MD¹⁴; Ullrich Graeven, MD, PhD¹⁵; Rudolf Peceny, MD¹⁶; Peter Staib, MD, PhD¹⁷; Annette Dieing, MD¹⁸; Hermann Einsele, MD¹⁹; Anna Jauch, PhD²⁰; Michael Hundemer, MD²¹; Manola Zago, PhD²²; Ema Požek, MSc²; Axel Benner, Dipl Stat²; Carsten Bokemeyer, MD¹; Hartmut Goldschmidt, MD²³; and Katja C. Weisel, MD¹

DOI <https://doi.org/10.1200/JCO.23.01696>

ABSTRACT

PURPOSE The GMMG-CONCEPT trial investigated isatuximab, carfilzomib, lenalidomide, and dexamethasone in noneligible (TNE) patients with exclusively high-risk multiple myeloma.

Editorials

Glücksklee, the Quad, and High-Risk Myeloma

Ajay K. Nooka, MD¹; Jonathan L. Kaufman, MD¹; and Sagar Lonial, MD¹

DOI <https://doi.org/10.1200/JCO.23.02017>

In the article that accompanies this editorial, Leyboldt et al¹ describe the results of a forward-thinking study focused on the management of high-risk newly diagnosed multiple myeloma (HR NDMM) using the quadruplet (quad) regimen: isatuximab, carfilzomib, lenalidomide, and

- bestmögliche Behandlung nach dem wissenschaftlichen Kenntnisstand



zulassungs-
behörde



?

Journal of Clinical Oncology[®]
An American Society of Clinical Oncology Journal



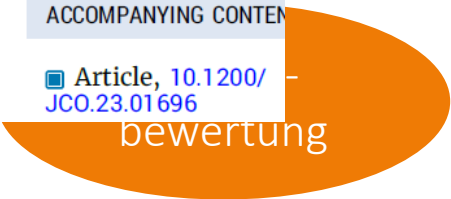
Guidelines aufgenommen



- Hochrisiko Multiples Myelom
- unheilbar
 - Mittlere Überlebenszeit 2 Jahre
 - Keine risikoadaptierte Behandlung

ACCOMPANYING CONTENT

Article, [10.1200/JCO.23.01696](https://doi.org/10.1200/JCO.23.01696)



Hubertus Wald Tumorzentrum
Universitäres Cancer Center Hamburg

Bundesober-
behörden

Zuständig: PEI
3 Prüfpräparate, nur 1 moAb

Zulassungs-
behörde

Keine Zulassungsrelevanz
akademisch

EU-HTA

?

Klinische

Noch ein Gedanke: Gäbe es nicht auch die Möglichkeit, einer Art „Ausnahmegenehmigung“ für die Konsolidierungs-/Erhaltungstherapie nach Ihrer CONCEPT-Studie durchzusetzen, zumal sie international Bestätigung erfährt? Es muss doch jemanden/ein Amt/einen „Rat“ geben, der einer/meiner vorgetragenen Bitte zustimmen kann.

Grüße aus Berlin
GIMMG-CONCEPT

- Akademisch
- Phase II einarmig
- Kombination erstmals angewendet



Leitlinien

In US-Guidelines aufgenommen

Erkrankung

- Hochrisiko Multiples Myelom
- unheilbar
 - Mittlere Überlebenszeit 2 Jahre
 - Keine risikoadaptierte Behandlung

- Ziel: Optimale Versorgung
- schneller, sicherer und uneingeschränkter Zugang zur Innovation
 - bestmögliche Behandlung nach dem wissenschaftlichen Kenntnisstand

Nutzen-
bewertung

Natürlich keinen
selbst im Szenario der Zulassung
MRD Endpunkt, ZVT?



- Schon jetzt bewegen wir uns in einem unlösbaren Spannungsfeld
- Jede neue Komponente darf nicht zu einer weiteren Verkomplizierung und Prozessverlangsamung führen
- EU-HTA: Chance zur Verminderung der Heterogenität in der EU-weiten Patient:innenversorgung
- Wir müssen uns noch besser zuhören und trotzdem handlungsfähig bleiben
- Der Patient, seine optimale Behandlung und der rasche, sichere und uneingeschränkte Zugang zur Innovation müssen im stets Mittelpunkt stehen!