



Qualitätsanforderungen bei neuartigen Arzneimitteltherapien

Dr. Lili Grell
Leiterin der SEG 6 „Arzneimittelversorgung“
der MDK-Gemeinschaft
beim MDK Westfalen-Lippe

14. Februar 2020, Veranstaltung „Qualität im Gesundheitswesen: Kultur – Kennzahlen – Steuerung“
des Kompetenz-Centrums Qualitätssicherung und Qualitätsmanagement, Berlin

Geschäftsführer: Dr. Martin Rieger
Ärztlicher Direktor: Dr. Peter Dinse

© MDK Westfalen-Lippe

MDK MEDIZINISCHER DIENST
DER KRANKENVERSICHERUNG
WESTFALEN-LIPPE

- Gesetzliche Grundlage
- Welche Arzneimittel sind betroffen?
- Warum Qualitätssicherung?

SGB V

§ 136a Richtlinien des Gemeinsamen Bundesausschusses zur Qualitätssicherung in ausgewählten Bereichen

§ 136a SGB V

(5) Der Gemeinsame Bundesausschuss kann im Benehmen mit dem Paul-Ehrlich-Institut in seinen Richtlinien nach § 92 Absatz 1 Satz 2 Nummer 6 für die vertragsärztliche Versorgung und für zugelassene Krankenhäuser Anforderungen an die Qualität der Anwendung von Arzneimitteln für neuartige Therapien im Sinne von § 4 Absatz 9 des Arzneimittelgesetzes festlegen.

§ 136a SGB V

Er kann insbesondere Mindestanforderungen an die Struktur-, Prozess- und Ergebnisqualität regeln, die auch **indikationsbezogen** oder bezogen auf **Arzneimittelgruppen** festgelegt werden können. Zu den Anforderungen nach den Sätzen 1 und 2 gehören, um eine sachgerechte Anwendung der Arzneimittel für neuartige Therapien im Sinne von § 4 Absatz 9 des Arzneimittelgesetzes zu sichern, insbesondere

§ 136a SGB V

1. die notwendige Qualifikation der Leistungserbringer,
2. strukturelle Anforderungen und
3. Anforderungen an sonstige Maßnahmen der Qualitätssicherung.

Soweit erforderlich erlässt der Gemeinsame Bundesausschuss die notwendigen Durchführungsbestimmungen. § 136 Absatz 2 und 3 gilt entsprechend.

Arzneimittel für neuartige Therapien im Sinne von § 4 Absatz 9 des Arzneimittelgesetzes dürfen **ausschließlich von Leistungserbringern angewendet werden**, die die vom Gemeinsamen Bundesausschuss beschlossenen Mindestanforderungen nach den Sätzen 1 bis 3 erfüllen.

- Gesetzliche Grundlage
- Welche Arzneimittel sind betroffen?
- Warum Qualitätssicherung?

„Arzneimittel für neuartige Therapien im Sinne
von § 4 Absatz 9 des Arzneimittelgesetzes“

§ 4 Abs. 9 AMG

(9) Arzneimittel für neuartige Therapien sind
Gentherapeutika,
somatische Zelltherapeutika oder
biotechnologisch bearbeitete Gewebeprodukte
nach Artikel 2 Absatz 1 Buchstabe a der Verordnung (EG)
Nr. 1394/2007 des Europäischen Parlaments und des
Rates vom 13. November 2007 ...

Zulassung

Arzneimittel für neuartige Therapien

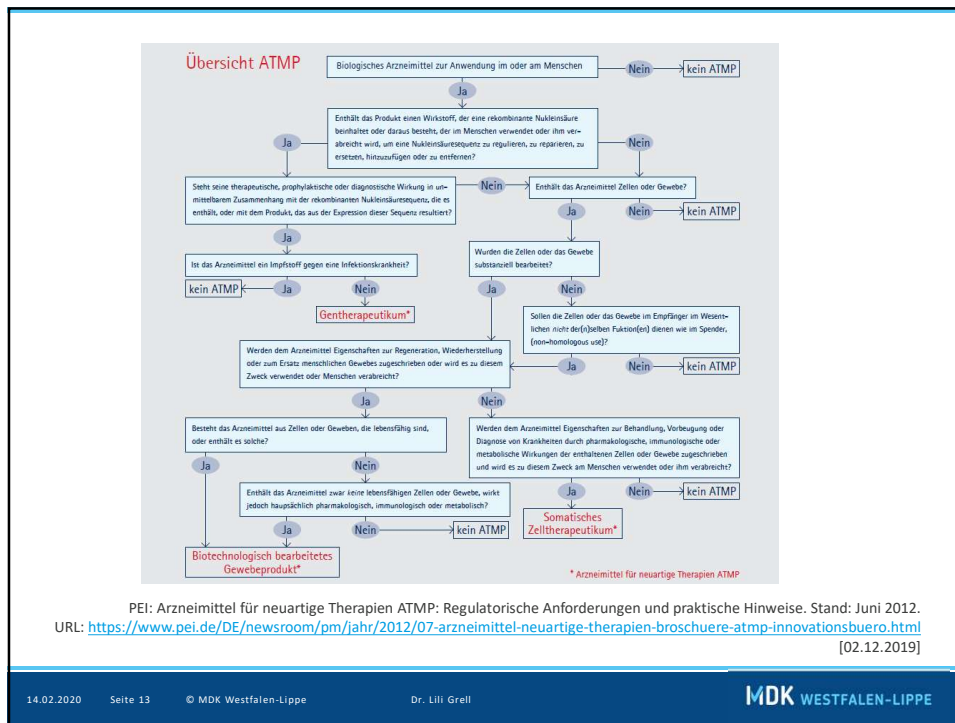
= Advanced Therapy Medicinal Products (ATMP)



Arzneimittel für neuartige Therapien (ATMP)

„Grundsätzlich müssen alle modernen Arzneimittel der Biotechnologie nach europäischem Recht bereits das **zentralisierte Genehmigungsverfahren** durchlaufen.“

PEI: Arzneimittel für neuartige Therapien ATMP: Regulatorische Anforderungen und praktische Hinweise. Stand: Juni 2012.
URL: <https://www.pei.de/DE/newsroom/pm/jahr/2012/07-arzneimittel-neuartige-therapien-broschuere-atmp-innovationsbuero.html>
[02.12.2019]



Biotechnologisch bearbeitete Gewebeprodukte

b) Ein „biotechnologisch bearbeitetes Gewebeprodukt“ ist ein Produkt,

- das biotechnologisch bearbeitete Zellen oder Gewebe enthält oder aus ihnen besteht und
- dem Eigenschaften zur Regeneration, Wiederherstellung oder zum Ersatz menschlichen Gewebes zugeschrieben werden oder das zu diesem Zweck verwendet oder Menschen verabreicht wird.

Biotechnologisch bearbeitete Gewebeprodukte

Ein biotechnologisch bearbeitetes Gewebeprodukt kann Zellen oder Gewebe menschlichen oder tierischen Ursprungs enthalten. Die Zellen oder Gewebe können lebensfähig oder nicht lebensfähig sein. Es kann außerdem weitere Stoffe enthalten wie Zellprodukte, Biomoleküle, Biomaterial, chemische Stoffe und Zellträger wie Gerüst- oder Bindesubstanzen.

Biotechnologisch bearbeitete Gewebeprodukte

Produkte, die ausschließlich nicht lebensfähige menschliche oder tierische Zellen und/oder Gewebe enthalten oder aus solchen bestehen und die keine lebensfähigen Zellen oder Gewebe enthalten und nicht hauptsächlich pharmakologisch, immunologisch oder metabolisch wirken, fallen nicht unter diese Begriffsbestimmung.

Biotechnologisch bearbeitete Gewebeprodukte

c) Zellen oder Gewebe gelten als „biotechnologisch bearbeitet“, wenn sie wenigstens eine der folgenden Bedingungen erfüllen:

- Die Zellen oder Gewebe wurden substantiell bearbeitet, so dass biologische Merkmale, physiologische Funktionen oder strukturelle Eigenschaften, die für die beabsichtigte Regeneration, Wiederherstellung oder den Ersatz relevant sind, erzielt werden.

Biotechnologisch bearbeitete Gewebeprodukte

Nicht als substantielle Bearbeitungsverfahren gelten insbesondere die in Anhang I aufgeführten Bearbeitungsverfahren.

- Die Zellen oder Gewebe sind nicht dazu bestimmt, im Empfänger im Wesentlichen dieselbe(n) Funktion(en) auszuüben wie im Spender.

Biotechnologisch bearbeitete Gewebeprodukte

Zugelassen z. B.:

Autologe menschliche Hornhautepithelzellen (79.000 - 316.000 Zellen/cm²), einschließlich durchschnittlich 3,5 % (0,4 bis 16 %) limbalen Stammzellen (Holoclar):
mittelschwere bis schwere Limbusstammzelleninsuffizienz

Biotechnologisch bearbeitete Gewebeprodukte

Zugelassen z. B.:

Sphäroide aus humanen autologen Matrix-assoziierten Chondrozyten (Spherox):
Gelenkknorpeldefekte der Femurkondyle und der Patella

Somatische Zelltherapeutika

Unter einem somatischen Zelltherapeutikum ist ein biologisches Arzneimittel zu verstehen, das folgende Merkmale aufweist:

a) Es besteht aus Zellen oder Geweben, die substantiell bearbeitet wurden, so dass biologische Merkmale, physiologische Funktionen oder strukturelle Eigenschaften, die für die beabsichtigte klinische Verwendung relevant sind,

Somatische Zelltherapeutika

verändert wurden, oder aus Zellen oder Geweben, die im Empfänger im Wesentlichen nicht denselbe(n) Funktion(en) dienen sollen wie im Spender, oder es enthält derartige Zellen oder Gewebe.

b) Ihm werden Eigenschaften zur Behandlung, Vorbeugung oder Diagnose von Krankheiten durch pharmakologische, immunologische oder

Somatische Zelltherapeutika

oder metabolische Wirkungen der enthaltenen Zellen oder Gewebe zugeschrieben und es wird zu diesem Zweck im Menschen verwendet oder ihm verabreicht.

Die in Anhang I der Verordnung (EG) Nr. 1394/2007 aufgeführten Bearbeitungsverfahren gelten nicht als substantielle Bearbeitung im Sinne von Buchstabe a dieser Definition.

Somatische Zelltherapeutika

Zugelassen z. B.:

Darvadstrocel (Alofisel):

komplexe perianale Fisteln bei Morbus Crohn

Allogene T-Zellen (Zalmoxis):

Begleittherapie bei haploidentischer hämatopoetischer

Stammzelltransplantation (HSCT)

Gentherapie

Unter einem Gentherapeutikum ist ein biologisches Arzneimittel zu verstehen, das folgende Merkmale aufweist:

a) Es enthält einen Wirkstoff, der eine rekombinante Nukleinsäure enthält oder daraus besteht, der im Menschen verwendet oder ihm verabreicht wird, um eine Nukleinsäuresequenz zu regulieren, zu reparieren, zu ersetzen, hinzuzufügen oder zu entfernen.

Gentherapie

b) Seine therapeutische, prophylaktische oder diagnostische Wirkung steht in unmittelbarem Zusammenhang mit der rekombinanten Nukleinsäuresequenz, die es enthält, oder mit dem Produkt, das aus der Expression dieser Sequenz resultiert. Impfstoffe gegen Infektionskrankheiten sind keine Gentherapeutika.

Gentherapeutika

Zugelassen z. B.:

Tisagenlecleucel (Kymriah):

ALL, B-Zell-Lymphom

Axicabtagen-Ciloleucel (Yescarta):

B-Zell-Lymphome

Voretigen Neparvovec (Luxturna):

Netzhautdystrophie mit *RPE65*-Mutationen

Gentherapeutika

Zugelassen z. B.:

Lentiglobin (Zynteglo):

„Behandlung von Patienten im Alter ab 12 Jahren mit transfusionsabhängiger β -Thalassämie (TDT), die keinen β^0/β^0 -Genotyp haben, und die für eine hämatopoetische Stammzelltransplantation (HSZT) geeignet sind, für die aber kein humanes Leukozyten-Antigen (HLA)-kompatibler, verwandter HSZ-Spender zur Verfügung steht ...“

- Gesetzliche Grundlage
- Welche Arzneimittel sind betroffen?
- Warum Qualitätssicherung?

Warum Qualitätssicherung?

- Es handelt sich um völlig neue Arzneimittel.
- Sicherheit steht im Fokus: Qualifizierung durch pU als Auflage der Arzneimittelzulassung
- Eine Arzneimitteltherapie ist mehr als eine Spritze!
 - *Indikationsstellung*
 - *Nebenwirkungsmanagement*
 - ...

QS

Herausforderung:

Das richtige Arzneimittel zum richtigen Zeitpunkt an den richtigen Patienten

Vielen Dank für Ihre Aufmerksamkeit!

www.mdk-wl.de

