

Evidenzbasierte Arzneimittelversorgung bei Seltenen Erkrankungen: die Rolle der Digitalisierung

Die Digitalisierung birgt Potenzial, geht es darum, die klinische Entwicklung zur Versorgung bei Seltenen Erkrankungen effizienter zu gestalten. Dies geht aus einem Beitrag hervor, in dem die Perspektiven zum Thema aus drei Institutionen des Gesundheitswesens zusammengeführt sind.

Bei der Wissensgenerierung im Bereich der Arzneimittelentwicklung für Menschen mit Seltenen Erkrankungen (SE) sind besondere Schwierigkeiten zu überwinden. Welche Verbesserungen durch eine zunehmende Digitalisierung erwartet werden, zeigen Frauke Naumann-Winter (Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte), Thomas Kaiser (Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen) und Antje Behring ([Gemeinsamer Bundesausschuss](#)) aus der Perspektive von drei Institutionen im Gesundheitswesen auf. Sie stellen das Potenzial der Digitalisierung vor, um auch durch eine früher einsetzende Zusammenarbeit aller Beteiligten die Effizienz der klinischen Entwicklung und der regulatorischen Entscheidungsprozesse zu erhöhen.

Sie argumentieren, dass mit Hilfe der Digitalisierung Hürden bei der Durchführung versorgungsnaher, auch registerbasierter, randomisiert kontrollierter Studien abgebaut werden sollten. Hochwertige Registerstudien sollten nicht erst nach der Zulassung, sondern bereits während des Zulassungsprozesses begonnen werden, damit die für Therapieentscheidungen notwendige [Evidenz](#) zeitnah nach Zulassung vorliegt.

Von Bedeutung: qualitativ hochwertige Indikationsregister

Abschließend stellen sie fest, dass die qualitative Verbesserung der Datenquellen und deren Vernetzung unmittelbar den Patientinnen und Patienten zugutekommt. Verwertbare [Evidenz](#) stellt eine effektive Arzneimittelversorgung sicher, wenn sie über einen längeren Zeitraum – auch über die Zulassung hinaus – generiert werden kann und geeignet ist, in Entscheidungen für das Gesundheitssystem einzufließen. Das Autorenteam ist sich einig, dass qualitativ hochwertige Indikationsregister als produktunabhängige, stehende Infrastrukturen entwickelt werden sollten, damit bereits früh in der Entwicklung von Arzneimitteln für Seltene Erkrankungen auf hochwertige Daten zurückgegriffen werden kann.

Weitere Informationen:

[Evidenzbasierte Arzneimittelversorgung bei Seltenen Erkrankungen: die Rolle der Digitalisierung](#)

MERKZETTEL

für das Gespräch mit Ihrer Ärztin oder Ihrem Arzt

Damit Sie viel aus dem Gespräch mit Ihrer Ärztin/Ihrem Arzt mitnehmen, empfehlen wir Ihnen, Ihre Beschwerden, aber auch Ihre Behandlungsziele sowie alle Ihre Fragen zu notieren. Wichtig für das Arztgespräch ist eine Liste der **Medikamente oder Nahrungsergänzungsmittel**, die sie derzeit verwenden. Über eventuelle **Allergien und Unverträglichkeiten** sollten Sie Ihre Ärztin/Ihren Arzt ebenfalls immer informieren. Nutzen Sie hierfür unseren Vordruck „Meine Medikations- und Behandlungsübersicht“.

Meine Beschwerden und/oder Behandlungsziele

Meine Fragen

Folgende Themen/Studien möchte ich besprechen

Welches Thema beschäftigt Sie? Was haben Sie z. B. in aktuellen Studien gelesen?

Notieren Sie die wichtigsten Punkte des Arztgesprächs

So bemerken Sie schnell, ob Sie alles richtig verstanden haben und ob Fragen unbeantwortet blieben

Meine Notizen zum Gespräch am _____:

Weitere Tipps für das Arztgespräch finden Sie unter „Materialien für den Arztbesuch“