



AGES

Österreichische Agentur für Gesundheit
und Ernährungssicherheit GmbH

*Health. Nutrition. Safety.
Our Concern.*

Fahrplan

(Die Rechtslage)

Nutzen

Qualität

Zukunft und offene Fragen

Definition:

- Systematische Untersuchung zugelassener Arzneyspezialitäten,
- in zugelassener Indikation,
- keine zusätzlichen diagnostischen oder therapeutischen Maßnahmen,
- keine zusätzlichen Belastungen des Patienten,
- Behandlungsstrategie nicht im Voraus festgelegt.

Vol 10, Notice to Applicants Q&A

Is it a Clinical Trial?

A	B	C	D	E
A CLINICAL TRIAL OF A MEDICINAL PRODUCT?				A NON-INTERVENTIONAL CLINICAL TRIAL?
Is it a medicinal product (MP)? ⁱ	Is it not a medicinal product?	What effects of the medicine are you looking for?	Why are you looking for those effects?	How are you looking for those effects?
If you answer no to <u>all</u> the questions in column A, the activity is not a clinical trial on a MP. If you answer yes to <u>any</u> of the questions below go to column B.	If you answer yes to the question below in column B the activity is not a clinical trial on a MP. If you answer no to this question below go to column C.	If you answer no to <u>all</u> the questions in column C the activity is not a clinical trial under the scope of Directive 2001/20/EC. If you answer yes to <u>any</u> of the questions below go to column D.	If you answer no to <u>all</u> the questions in column D the activity is not a clinical trial under the scope of Directive 2001/20/EC. If you answer yes to <u>any</u> of the questions below go to column E.	If you answer yes to <u>all</u> these questions the activity is a non-interventional trial which is outside the scope of Directive 2001/20/EC. If your answers in columns A,B,C & D brought you to column E and you answer no to <u>any</u> of these questions the activity is a clinical trial within the scope of the Directive.
A.1 Is it a substance ⁱⁱ or combination of substances presented as having properties for treating or preventing disease in human beings? A.2 Does the substance function as a medicine? i.e. can it be administered to human beings either with a view to restoring, correcting or modifying physiological functions by exerting a pharmacological, immunological or metabolic action or to making a medical diagnosis or is otherwise administered for a medicinal purpose? A.3 Is it an active substance in a pharmaceutical form?	B.1 Are you <u>only</u> administering any of the following substances? <ul style="list-style-type: none"> • Human whole bloodⁱⁱⁱ; • Human blood cells; • Human plasma; • Tissues except a somatic cell therapy medicinal product^{iv}; • A food product^v (including dietary supplements) not presented as a medicine; • A cosmetic product^{vi} • A medical device 	C.1 To discover or verify/compare its clinical effects? C.2 To discover or verify/compare its pharmacological effects, e.g. pharmacodynamics? C.3 To identify or verify/compare its adverse reactions? C.4 To study or verify/compare its absorption, distribution, metabolism or excretion?	D.1 To ascertain or verify/compare the efficacy ^{vii} of the medicine? D.2 To ascertain or verify/compare the safety of the medicine?	E.1 Is this a study of one or more medicinal products, which have a marketing authorisation in the Member State concerned? E.2 Are the products prescribed in the usual manner in accordance with the terms of that authorisation? E.3 Does the assignment of any patient involved in the study to a particular therapeutic strategy fall within current practice and is not decided in advance by a clinical trial protocol ^{viii} ? E.4 Is the decision to prescribe a particular medicinal product clearly separated from the decision to include the patient in the study? E.5 Will no diagnostic or monitoring procedures be applied to the patients included in the study, other than those which are applied in the course of current practice? E.6 Will epidemiological methods be used for the analysis of the data arising from the study?

Ein paar Eckdaten

	Compassionate use	AWB	Register*	Off-label use
Rechtliche Grundlage	Reg 2004/726 Art. 83	§ 2a (3)	2001/20/EC (ICH E2E)	§ 8 (1) 2 AMG
Zulassungsstatus	Pre-MA	Post-MA	Post-MA	Post-MA
Antragsteller / Durchführende	Hersteller / Repräsentant	Hersteller / Repräsentant	Hersteller / Repräsentant	Ärzte
GCP	Nein	Nein	Nein	Nein
Bewilligung	Ja	Nein	Nein	Nein
Meldung	Ja	Ja (Zukunft)	Ja	Nein
Auswertbarkeit	Epidemiologie, Pharmakovigilanz	Epidemiologie, Pharmakovigilanz	Epidemiologie, Pharmakovigilanz	NA

AWB vs nicht-interventionelle Studie

- Begriff sollte geändert werden
 - Form der Kohortenstudie
 - Andere Formen auch relevant
 - Kohortenstudie
 - Fall-Kontroll Studie
 - Querschnittstudie

Informationsgewinn

- **Sicherheit**
- **Anwendung**
- Wirksamkeit

Was ist zur Qualität bekannt?

Studie des Wissenschaftlichen Instituts der TK für Nutzung und Effizienz im Gesundheitswesen

(01.07.05-31.12.05)

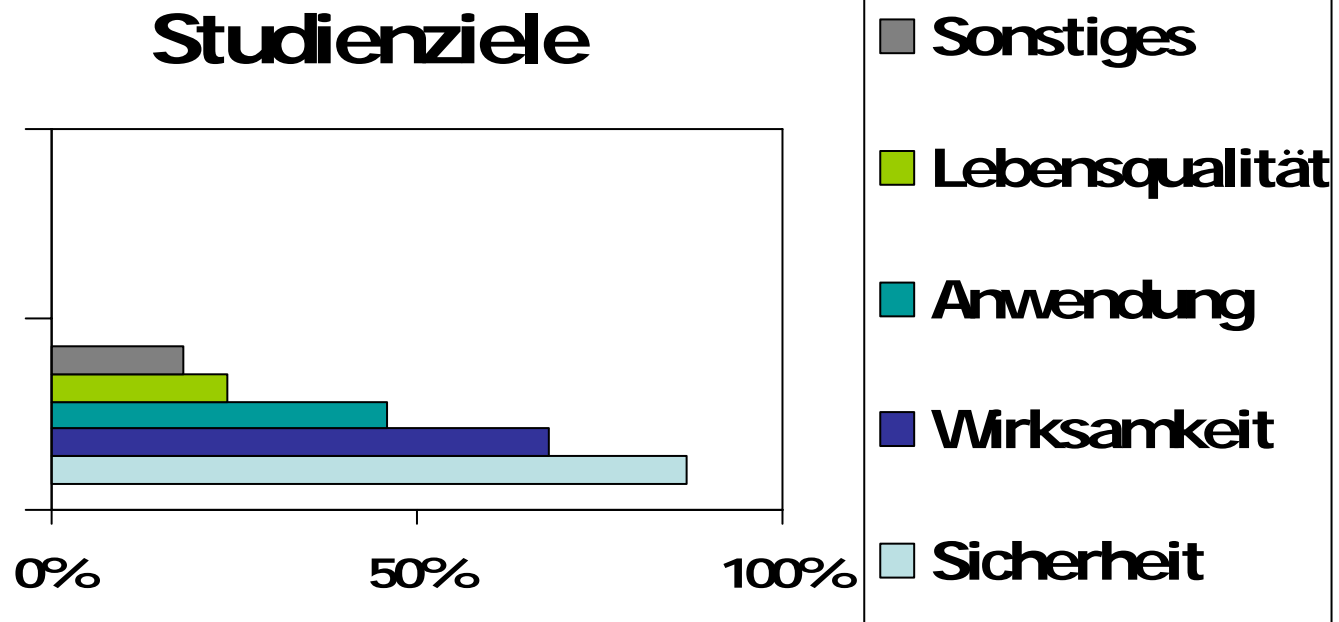
118 AWB der Kassenärztlichen Bundesvereinigung (DE) angezeigt

- Ø 1.000 Patienten (8 – 60.000)
- Ø 6 pro Zentrum (1 – 60)
- Ø 321 Ärzte (1 – 12.000)
- Ø 140 Tage Beobachtungszeit (1 – 3.650)

Qualität von AWBs

1.7.05-31.12.05

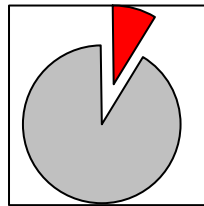
118 AWB der Kassenärztlichen Bundesvereinigung (DE)
angezeigt



AWB M.Müllner 29.11.07

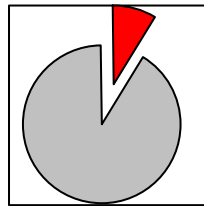
118 AWB; Kassenärztlichen Bundesvereinigung (DE)

Studienziele

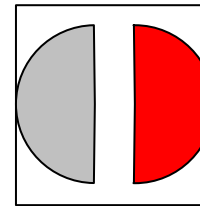


118 AWB; Kassenärztlichen Bundesvereinigung (DE)

Studienziele

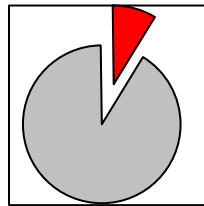


Studiendesign

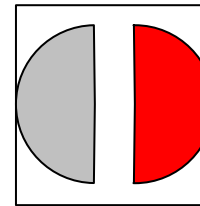


118 AWB; Kassenärztlichen Bundesvereinigung (DE)

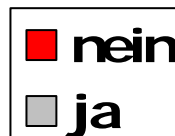
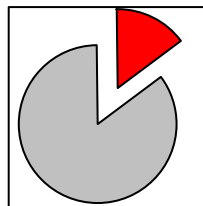
Studienziele



Studiendesign

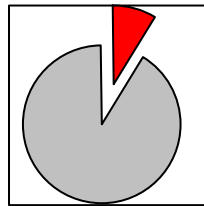


Geeignet für Ziele

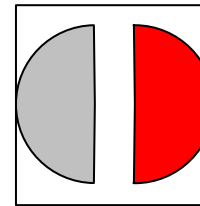


118 AWB; Kassenärztlichen Bundesvereinigung (DE)

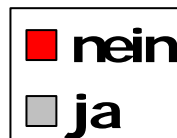
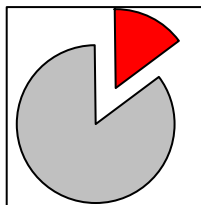
Studienziele



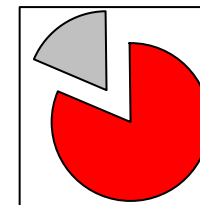
Studiendesign



Geeignet für Ziele



Publikation geplant?



Wie sollte die Qualität sein?

The Strengthening the Reporting of Observational Studies in Epidemiology (STROBE) statement: guidelines for reporting observational studies

Erik von Elm, Douglas G Altman, Matthias Egger, Stuart J Pocock, Peter C Gøtzsche, Jan PVandenbroucke, for the STROBE initiative

Lancet 2007; 370: 1453-57

Wie sollte die Qualität sein?

Empfehlung des BfArM & PEI (DE)

- Entwurf; Konsultationsprozess abgeschlossen



BfArM
Bundesinstitut für Arzneimittel
und Medizinprodukte

Paul-Ehrlich-Institut
Bundesamt für Sera und Impfstoffe



**Gemeinsame Empfehlungen des
Bundesinstituts für Arzneimittel und Medizinprodukte
und des
Paul-Ehrlich-Instituts
zur Planung, Durchführung und Auswertung von
Anwendungsbeobachtungen**

Entwurfsfassung vom 9. Mai 2007
zur Kommentierung durch die Fachöffentlichkeit

Wie sollte die Qualität sein?

Empfehlung des BfArM & PEI (DE)

- Entwurf; Konsultationsprozess abgeschlossen

Empfehlung des Bundesamtes für Sicherheit im Gesundheitswesen & AGES PharmMed

- Leitfaden in Ausarbeitung; Konsultationsprozess geplant

Wie sollte die Qualität sein?

Eckpunkte des Leitfadens

- Beobachtungs- und Auswertungsplan
 - Ziele
 - Design
 - Dokumentation
 - Sicherheitsdaten
- Abschlussbericht

Leitfaden


Register

- Inhalte des Registers?
- Öffentliche Infos?

Sonstiges

- Inspektionen?
- Patienteninformation?



PharmMed 



safe & effective
medicines