



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

?

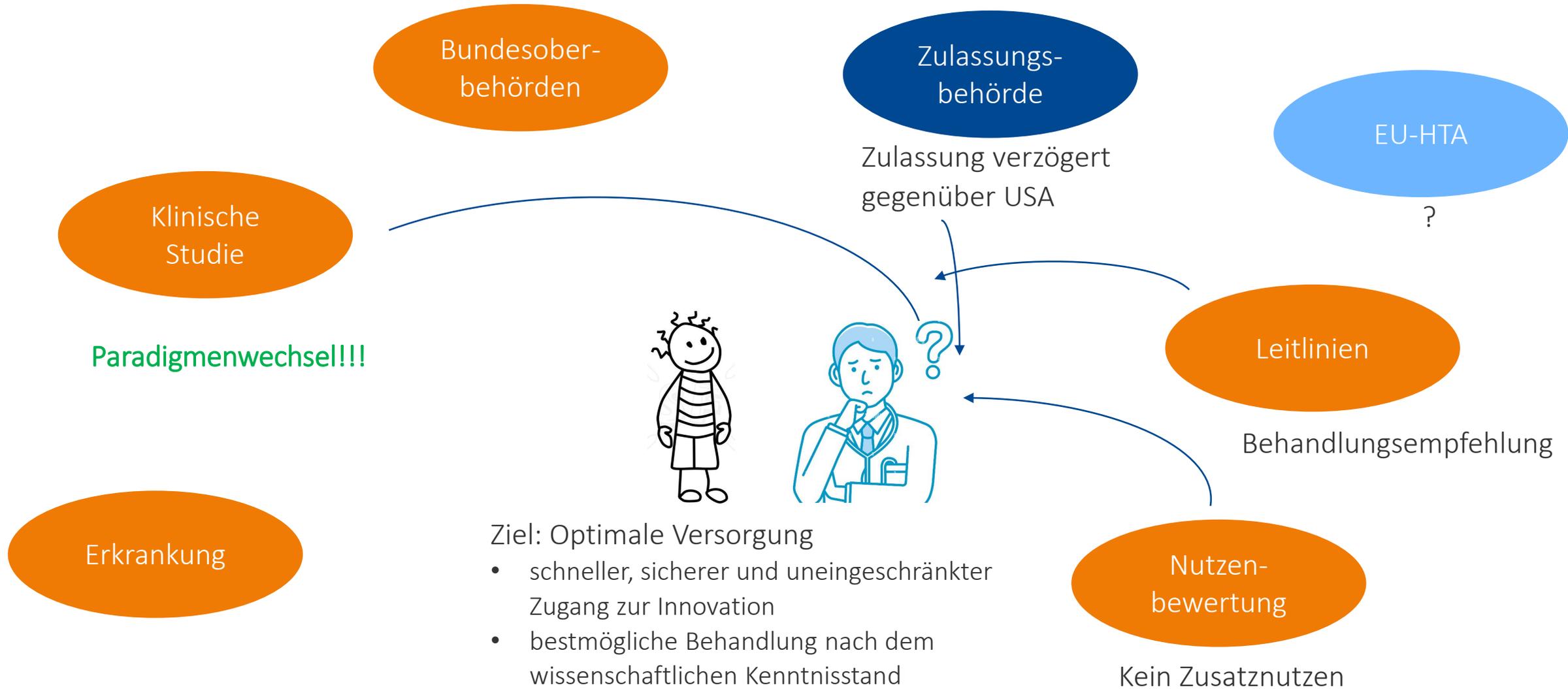
Leitlinien

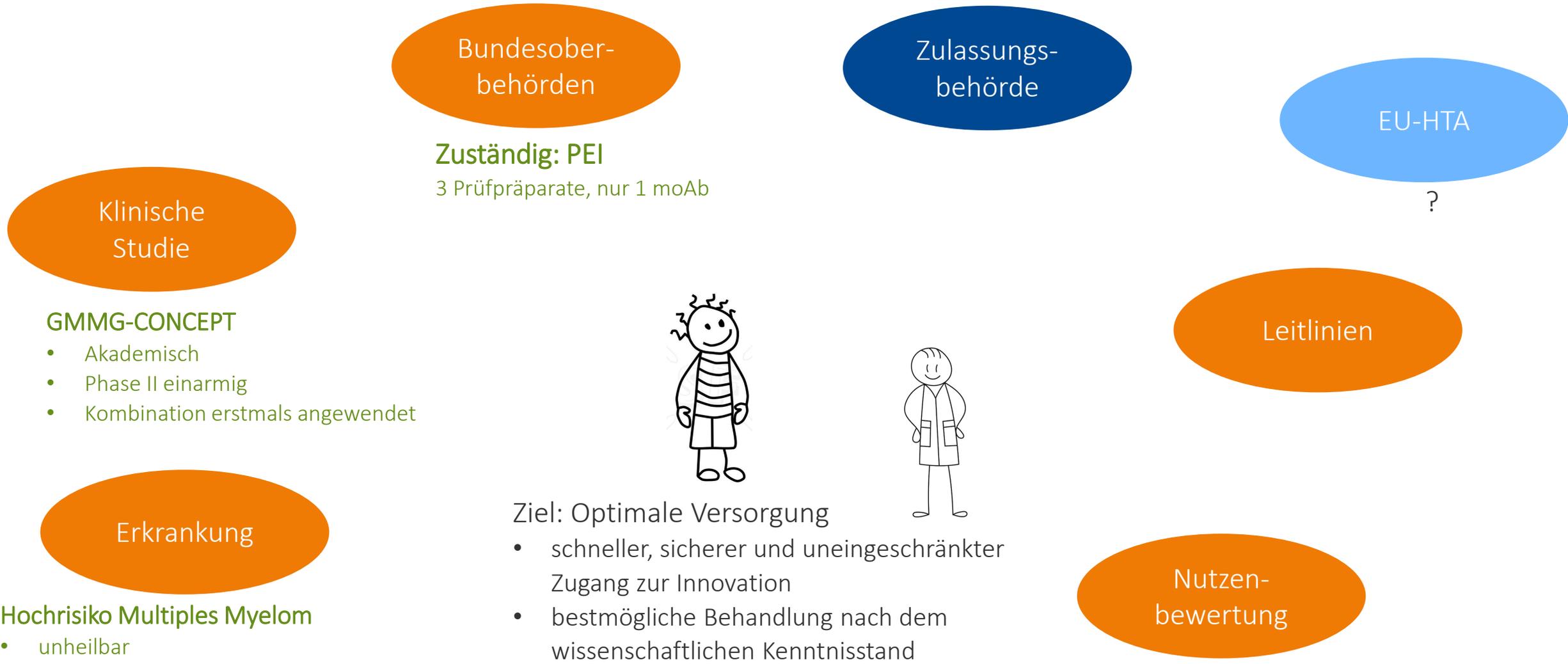
Behandlungsempfehlung

- 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, MD<sup>1</sup>; Diana Tichy, PhD<sup>2</sup>; Britta Besemer, MD<sup>3</sup>; Mathias Hänel, MD<sup>4</sup>; Marc S. Raab, MD<sup>5</sup>; Christoph Mann, MD<sup>6</sup>; Markus Munder, MD<sup>7</sup>; Hans Christian Reinhardt, MD<sup>8</sup>; Axel Nogai, MD<sup>9</sup>; Martin Görner, MD<sup>10</sup>; Yon-Dschun Ko, MD<sup>11</sup>; Maïke de Wit, MD<sup>12</sup>; Hans Salwender, MD<sup>13</sup>; Christof Scheid, MD<sup>14</sup>; Ullrich Graeven, MD, PhD<sup>15</sup>; Rudolf Peceny, MD<sup>16</sup>; Peter Staib, MD, PhD<sup>17</sup>; Annette Dieing, MD<sup>18</sup>; Hermann Einsele, MD<sup>19</sup>; Anna Jauch, PhD<sup>20</sup>; Michael Hundemer, MD<sup>21</sup>; Manola Zago, PhD<sup>22</sup>; Ema Požek, MSc<sup>2</sup>; Axel Benner, Dipl Stat<sup>2</sup>; Carsten Bokemeyer, MD<sup>1</sup>; Hartmut Goldschmidt, MD<sup>23</sup>; and Katja C. Weisel, MD<sup>1</sup>

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

### ABSTRACT

**PURPOSE** The GMMG-CONCEPT trial investigated isatuximab, carfilzomib, lenalidomide, and dexamethasone in previously untreated, noneligible (TNE) patients with exclusively high-risk multiple myeloma. The primary endpoint was overall survival (OS) at 24 weeks.



zulassungs-  
behörde



?

Journal of Clinical Oncology<sup>®</sup>  
An American Society of Clinical Oncology Journal



### Editorials

## Glücksklee, the Quad, and High-Risk Myeloma

Ajay K. Nooka, MD<sup>1</sup>; Jonathan L. Kaufman, MD<sup>1</sup>; and Sagar Lonial, MD<sup>1</sup>

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

In the article that accompanies this editorial, Leyboldt et al<sup>1</sup> 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

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)

bewertung



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!