

**Fachbereich
Angewandte Naturwissenschaften
Studiengang: Regulatory Affairs**

Master-Abschlussarbeit

Thema:

Design regulatorischer Strategien für therapiebegleitende Diagnostika im Bereich neurodegenerativer Erkrankungen vor dem Hintergrund internationaler Zulassungsanforderungen

Zusammenfassung:

Die Zahl der Demenzpatienten liegt weltweit bei etwa 55 Millionen, wobei Alzheimer-Demenz (AD) und vaskuläre Demenz bis zu 90 % der Fälle ausmachen. AD ist eine Form der Demenz, welche auf Ablagerungen der neurotoxischen Proteine β -Amyloid und Tau-Protein im Gehirn zurückzuführen ist. Durch den Einsatz von Blutuntersuchungen zur Bestimmung der neurotoxischen Proteine als therapiebegleitende Diagnostika (CDx) könnte sichergestellt werden, dass krankheitsmodifizierenden Medikamente sicher und wirksam angewendet werden. Im Fokus dieser Arbeit stehen die regulatorischen Rahmenbedingungen der Verordnung (EU) 2017/746 über In-vitro-Diagnostika (IVDR) zur CE-Kennzeichnung eines Verfahrens zur AD-Diagnostik (Dx) und zur therapiebegleitenden Diagnostik (CDx) in Blutplasma. Zusätzlich werden die Anforderungen an das Konformitätsbewertungsverfahren für CDx bei nicht gleichzeitiger Entwicklung des Therapeutikums herausgearbeitet und denen der gleichzeitigen Entwicklung gegenübergestellt. Anschließend erfolgt ein Vergleich mit den Anforderungen der internationalen Märkte USA, Vereinigtes Königreich (UK), Australien und Kanada und Japan. Zusätzlich werden die Möglichkeiten der Erstattungsfähigkeit von Blutuntersuchungsverfahren zur AD-Diagnostik und therapiebegleitenden Diagnostik in der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) des deutschen Gesundheitssystems betrachtet.

In der EU unterliegen CDx seit dem Inkrafttreten der IVDR am 26. Mai 2022 speziellen Regularien. Hierzu gehört ein Konformitätsbewertungsverfahren mit Konsultation der

zuständigen Arzneimittelbehörde durch die Benannte Stelle. Der unabhängige Prozess von Arzneimittelzulassung und Konformitätsbewertung des CDx ermöglicht die gleichzeitige als auch nicht gleichzeitige Entwicklung von CDx und Arzneimittel. In den USA, Japan und Australien wird die gleichzeitige Entwicklung und Zulassung bevorzugt, was unter anderem ein hohes Maß an Kommunikation zwischen den Beteiligten erfordert. UK und Kanada haben bisher noch keine speziellen Regularien für CDx. Da CDx auch international erst in den letzten Jahren in den regulatorischen Fokus gerückt wurden, ist auch hier eine Entwicklung zu erwarten. Die sichere und wirksame Anwendung von Arzneimitteln soll durch CDx gewährleistet werden, um Patienten in Zukunft gezielter zu behandeln und dadurch auch AD-Patienten eine zielgerichtete und wirksame Therapie ermöglichen. Durch die Zusammenarbeit von IVD-Herstellern und Marketing Authorisation Holder (MAH) des Arzneimittels können durch den Wissensaustausch außerdem schneller neue Technologien entwickelt oder bestehende verbessert werden. Eine reibungslose Kommunikation und Zusammenarbeit zwischen den Beteiligten ist Voraussetzung dafür. Die Erstattungsfähigkeit von CDx innerhalb der GKV profitiert ebenfalls davon. Wird das CDx als zwingend erforderliche Leistung im Rahmen der Therapie mit dem dazugehörigen Arzneimittel in der Fachinformation sowie im Antrag auf Erstattung des Arzneimittels ausgewiesen, kann das CDx zusammen mit der Therapie erstattet werden.

Verfasser/in: Friederike Wagner
Betreuer/in: Prof. Dr. Folker Spitzenberger
Datum der Abgabe: 29. Dezember 2023