

POSITIONSPAPIER

von Pharma Deutschland e.V.

Real World Data für Innovationen

Stand des Positionspapiers 1. Juni 2026

In diesem Positionspapier steht der Begriff „Innovationen“ nicht allein für neuartige Therapien, neue Impfstofftechnologien, Advanced Therapy Medicinal Products (ATMP) oder neue patentgeschützte Wirkstoffe. Arzneimittel oder Innovationen schließen sowohl Therapien und Impfstoffe als auch die Weiterentwicklung bestehender Therapieoptionen ein, z.B. die Erweiterung der Indikationen, die Einbindung neuer Patientengruppen (z.B. Schwangere, Kinder und Jugendliche oder ältere Patienten). Dieses Dokument stellt eine dynamische Dokumentation dar, die aufgrund der europäischen und internationalen Entwicklungen mit potentiellen neuen Erkenntnissen an den aktuellen Wissenstand angepasst werden wird.

Real-World Data (RWD)¹ können praxisnahe Erkenntnisse liefern, sowohl zu Versorgungspfaden, zur Epidemiologie, zu Therapiesequenzen als auch zu Wirksamkeit, Sicherheit und Nutzen neuer oder bekannter Therapien. Real-World-Evidenz (RWE) auf Basis der RWD kann zum Beispiel ergänzend zu klinischen Prüfungen bei der Zulassung und dem Health Technology Assessment (HTA) unterstützen, um nachfolgende klinische Prüfungen zu konzipieren, Daten im Versorgungsalltag zu sammeln, und so Therapien oder präventive Maßnahmen umfassender zu bewerten. Im Bereich der Pharmakovigilanz werden diese Daten bereits seit vielen Jahren als wichtige Quelle betrachtet und haben in der fortlaufenden Bewertung von zugelassenen Arzneimitteln eine große Bedeutung. Aber auch die Anwendung im regulatorischen Bereich findet zunehmend Beachtung (s. a. Journey towards a roadmap for regulatory guidance on real-world evidence) und wird kontinuierlich ausgebaut.²

¹ Derzeit läuft das Projekt der ICH für eine [Guidance E23](#) „Considerations for the Use of Real-World Evidence (RWE) to Inform Regulatory Decision Making with a focus on Effectiveness of Medicines“. Darin sollen die Definitionen für RWD und RWE international gleichlautend festgelegt werden. Als Vorläufer der ICH E23 gilt das ebenfalls von der ICH stammende [Reflection Paper](#) „on proposed international harmonisation of real-world evidence terminology and convergence of general principles regarding planning and reporting of studies using real-world data, with a focus on effectiveness of medicines“. Unter RWD werden dort die im Versorgungsalltag generierten Daten verstanden, die außerhalb kontrollierter klinischer Prüfungen erhoben werden. Werden diese Daten systematisch analysiert und methodisch aufbereitet, entsteht daraus Real-World Evidence (RWE).

² https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/journey-towards-roadmap-regulatory-guidance-real-world-evidence_en.pdf
EMA has developed a roadmap to produce guidance on **real-world evidence** to support regulatory decision-making. A document describing the roadmap and the journey that led to it is available below. It includes a review of existing real-world evidence guidance that regulators have issued. It also proposes topics for further guidance development.

Obwohl es mittlerweile von der EMA und auch von der ICH (International Council for Harmonisation) einige weiterführende Dokumente zu diesem Thema gibt ([ICH E23 Concept Paper „Considerations for the Use of Real-World Evidence \(RWE\) to Inform Regulatory Decision Making with a focus on Effectiveness of Medicines“](#), [ICH M14 “Guideline on general principles on plan, design and analysis of pharmacoepidemiological studies that utilize real-world data for safety assessment of medicines” – adopted by EMA](#)) nutzen im Bereich der Weiterentwicklung von Arzneimitteln sowie bei Innovationen die Zulassungsbehörden und HTA-Institutionen das Konzept RWD/RWE bislang nur in sehr begrenztem Umfang und es bestehen offensichtlich noch Unsicherheiten bei ihrer Nutzung für Zulassungs- und HTA-/Erstattungsentscheidungen. Die sog. Target Trial Emulation konnte sich noch nicht etablieren. Die Zulassungsbehörden priorisieren Kausalitätsprüfung anhand von randomisierten kontrollierten Prüfungen (RCT). Die sehr zurückhaltende Anwendung und Anerkennung von RWD/RWE führt jedoch zu einem Teufelskreis: Ohne ein gemeinsames Verständnis und einheitliche Vereinbarungen für eine transparente und öffentlich einsehbare Bewertung und Nutzung fehlt es an der Umsetzung methodischer Standards, so dass bislang Wirksamkeitsdaten, Daten zur Qualitätssicherung und Erkenntnisse zum methodischen Fortschritt verloren gehen. Es bleibt bei Einzelfallentscheidungen und es kommt nicht zu einer generellen und damit planbaren Nutzung dieser Daten im Bereich regulatorischer Entscheidungen und HTA.

Pharma Deutschland fordert daher einen Paradigmenwechsel. Insbesondere die Digitalisierung in der ambulanten und stationären Versorgung muss so gestaltet werden, dass RWD systematisch, strukturiert, maschinenlesbar und mit geringem Aufwand in der klinischen Routine fehlerarm erhoben und nutzbar gemacht werden können. Datenschutz, Interoperabilität, Standardisierung und die Verknüpfung von Register- und Versorgungsdaten müssen regulatorisch so ausgestaltet werden, dass ihre Nutzung gefördert und nicht behindert wird. Die Verwendung von einheitlichen Metadaten und deren Ontologien für die Kategorisierung der Daten muss konsequent eingeführt und beachtet werden. Diese sind bereits in europäischen und internationalen Standards und Leitlinien beschrieben und veröffentlicht. Die EMA hat gemeinsam mit den nationalen Zulassungsbehörden einen wichtigen Schritt in diese Richtung durch die Veröffentlichung ihrer Metadaten-Kataloge³ gemacht. Diese Weiterentwicklung spiegelt sich auch im Europäischen Gesundheitsdatenraum (EHDS) wider. Daraus resultieren bereits viele Ansätze auf europäischer Ebene RWD verstärkt bei regulatorischen Entscheidungen zu berücksichtigen und die Akzeptanz dieser Daten auf Behördenseite zu steigern.

Auch die Bewertungsmethodik in Zulassungs- und HTA-Verfahren muss weiterentwickelt werden. RWD sollten kontextspezifisch systematisch in die Entscheidungsfindung einfließen und anhand transparenter Kriterien bewertet werden. Nur durch ihre tatsächliche Nutzung im regulatorischen und HTA-Kontext können Versorgungspotenziale gezielt und strukturell adressiert werden. Methodische Ansätze wie die Target Trial Emulation bieten dabei die Möglichkeit, randomisierte Vergleichssituationen nachzubilden und Verzerrungen zu reduzieren. Wo solche methodischen

³ <https://catalogues.ema.europa.eu/>

Designs nicht umsetzbar sind, bedarf es einer offenen Diskussion über Kombinationen verschiedener Evidenzquellen, insbesondere zur sinnvollen Verknüpfung von RWD mit Daten aus klinischen Prüfungen. Nur durch eine konsistente methodische Weiterentwicklung und die komplementäre Nutzung beider Evidenzquellen kann die Bewertung neuer und etablierter Therapien an Aussagekraft gewinnen.

Notwendig sind zudem nachhaltige Investitionen in Dateninfrastrukturen, forschungsfreundliche Datenschutzregelungen ohne Patienten zu benachteiligen und klare Datennutzungsrechte. Industrie, Wissenschaft, Behörden und Patientenorganisationen müssen gemeinsam an diesen Daten lernen, um die Versorgung und die Erforschung neuer Therapieoptionen messbar zu verbessern.

Warum RWD jetzt entscheidend sind

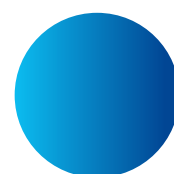
Digitalisierung und Automatisierung können die Datenerhebung und Datenverarbeitung effizienter und weniger fehleranfällig machen – dazu ist es jedoch unabdingbar, dass man sich generell an harmonisierte Standards und Normen hält, um die Interoperabilität der Systeme zu gewährleisten. Mit der wachsenden Verfügbarkeit digitaler Daten, aus elektronischen Patientenakten bis hin zu großen Versorgungsdatenbanken, entsteht die Chance, eine breite und valide Evidenzbasis für bessere, schnellere und kosteneffizientere Entscheidungen zu schaffen, sowohl in der Versorgung als auch bei den Entscheidungen über Forschungsziele.

Der geplante EHDS ist hierfür ein zentraler Baustein: Er soll den sicheren, grenzüberschreitenden Austausch von Gesundheitsdaten ermöglichen und eine gemeinsame europäische Dateninfrastruktur schaffen. Auf nationaler Ebene trägt das Forschungsdatenzentrum Gesundheit zur Überwindung der bestehenden Fragmentierung bei. Darüber hinaus bieten neue Gesundheitsdatenökosysteme, wie bspw. sphin-X, sektorspezifische und sektorübergreifende Analysemöglichkeiten über die bestehenden Rahmenbedingungen hinaus. Allerdings berücksichtigen die Konzepte des EHDS nicht alle aktuellen Arzneimittelanwendungen. Der große Bereich der Selbstmedikation und die Anwendung von OTC-Arzneimitteln ist damit nur zu einem sehr geringen Teil erfassbar. Hier müssten andere Datenquellen mit einbezogen werden, als Arzt-, Versicherungs- und Krankenhausakten.

Die Bündelung von Informationen eröffnet zunächst die Möglichkeit, Patientenzahlen für bestimmte Indikationen besser abzuschätzen, Therapiepfade und -sequenzen zu analysieren oder den aktuellen Versorgungs- und Impfstandard zu erfassen. Noch größer wird der Mehrwert in der Vernetzung dieser Daten mit Registerdaten. Zwar existieren etablierte Qualitätsanforderungen an Register von IQWiG, TMF und der EMA^{4 5}, doch deren Umsetzung in Bezug auf Sicherstellung von Datenkonsistenz, Vollständigkeit, Genauigkeit ist für Registerbetreiber unter den derzeitigen

⁴ IQWiG Rapid Report A19-43, Version 1.1 vom 13.5.2020. URL: <https://www.iqwig.de/projekte/a19-43.htm>, Konzepte zur Generierung versorgungsnaher Daten und deren Auswertung zum Zwecke der Nutzenbewertung von Arzneimitteln nach § 35a SGB V

⁵ Niemeyer, A., Regierer, A. C., Hartz, T., Veit, C., van den Berg, N., Beckedorf, I., Schlünder, I., Neubauer, E., Hoffmann, W., Semler, S. C., & Röhrig, R., TMF WG Medical Registries. (2024). Development of a maturity model for medical patient registries – A community approach. *Studies in Health Technology and Informatics*, 316, 1262–1263. <https://doi.org/10.3233/SHTI240641>



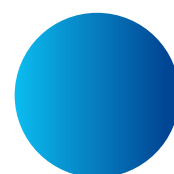
Rahmenbedingungen herausfordernd. Zudem fehlen bis heute die rechtlichen Grundlagen für eine sinnvolle Verknüpfung der Datenquellen sowie deren systematische Registrierung zur besseren Auffindbarkeit der Register. Die Hoffnung liegt hier für den deutschen Gesetzesraum auf dem neuen Medizinregistergesetz, das die Bundesregierung Ende Oktober 2025 mit einem ersten Referentenentwurf angekündigt hat. Pharma Deutschland wird sich in den Gesetzfindungs-Prozess mit dem Fokus auf eine effiziente und pragmatische Umsetzung im Sinne der Patientensicherheit einbringen.

Nutzen von RWD

RWD bieten enormes Potenzial für eine moderne, evidenzbasierte Gesundheitspolitik, eine realitätsnahe Arzneimittelforschung und eine Evolution der regulatorischen Entscheidungsprozesse. Derzeit werden sie jedoch überwiegend in der Post-Marketing-Phase eingesetzt, während ihr Nutzen in frühen Phasen von Forschung und Zulassung sowie für HTA noch intensiver ausgeschöpft werden könnte. Insbesondere bei Zulassungserweiterungen könnten RWD wertvolle Evidenz liefern, um Wirksamkeit und Sicherheit in neuen Indikationen oder Populationen zu belegen. Allerdings ist ihre Anerkennung, sowohl durch die EMA als auch die HTA-Institutionen, bislang noch mit methodischen und prozeduralen Hürden verbunden.

Auch im Rahmen der nationalen Bewertung des Zusatznutzens nach §35a SGB V ist es notwendig, außerhalb von RCT generierte Datenquellen nutzbar zu machen. Einige Therapiesituationen weisen Besonderheiten auf, die eine Bewertung im Rahmen von RCT nicht zulassen. Bei schweren oder seltenen Erkrankungen, begrenzten Therapiealternativen oder hohem ungedecktem medizinischem Bedarf ist die Generierung klassischer Studiendaten oft nur eingeschränkt möglich. Herausforderungen wie geringe Patientenrekrutierung oder die Notwendigkeit langfristiger Wirksamkeitsbeobachtungen machen alternative Evidenzquellen unverzichtbar. Gerade im Fall von besonderen Zulassungswegen wie Conditional Approval oder Marketing Authorisation under Exceptional Circumstances müssen weitere Daten und Studiendesigns in der Bewertung herangezogen werden. Nur so lässt sich der Zusatznutzen innovativer Therapien realitätsnah bewerten. Ein Umdenken der nationalen HTA-Institutionen bezüglich der Akzeptanz dieser Evidenz ist notwendig.

Für Patientinnen und Patienten könnte die konsequente Nutzung von RWD schnelleren Zugang zu Innovationen und verbesserten Therapien bedeuten. Internationale Entwicklungen zeigen, dass RWD längst kein Randthema mehr sind: Die EMA-Strategie bis 2028 sieht RWD als integralen Bestandteil regulatorischer Entscheidungen vor. Mit DARWIN EU® ist zudem ein europaweites Daten- und Analyse-Netzwerk entstanden, das Daten von rund 180 Millionen Patientinnen und Patienten umfasst und bereits in regulatorische Prozesse einfließt.



Wie erreichen wir das gemeinsam?

Pharma Deutschland fordert deshalb diesen Paradigmenwechsel: Der wichtige Schritt von der Datenverfügbarkeit zur Datennutzung

- RWD als Evidenzquelle anerkennen: Systematische Berücksichtigung von RWE neben RCTs in Zulassungs- und HTA-Verfahren für alle Arzneimittel (verschreibungspflichtige und nicht verschreibungspflichtige); insbesondere im Rahmen von Indikationserweiterungen oder die Ausweitung auf besondere Bevölkerungsgruppen (Populationen); denn wurde einmal die die Wirksamkeit belegt, sollte bei Indikationserweiterungen die Evidenz regelmäßig mittels RWD anerkannt werden können
- Nachhaltige Dateninfrastrukturen aufbauen: Umsetzung des EHDS und Vorantreiben der Digitalisierung im Gesundheitssystem
- Rechtssicherheit schaffen: Klare, forschungsfreundliche Datenschutzregelungen und eindeutige Datennutzungsrechte und Verabschiedung eines Registergesetzes
- Methoden weiterentwickeln: Offener Dialog zwischen Behörden, Industrie und Wissenschaft zur Weiterentwicklung von Standards und Methoden
- Neue Konzepte und Methoden entwickeln, wie sie z.B. die Erfassung von RWD bei OTC-Arzneimittel benötigen. Hier benötigt man andere Quellen als Patientenakten in Arztpraxen, Krankenhäusern oder Krankenversicherungen. Auch können mit den aktuellen Ansätzen bei Selbstmedikation keine Daten zu Diagnosen, Indikationen, Dauer der Symptome, Schweregrad und relevante Endpunkte erfasst werden.
- Gemeinsame Verantwortung aller Akteure für Datenqualität: sie darf nicht einer einzelnen Stelle zugeschrieben werden
- Förderung weitere Datenökosysteme in der industriellen Gesundheitswirtschaft

Dafür braucht es:

- Politik: Verbindliche Rechts- und Finanzierungsrahmen.
- Wissenschaft: Entwicklung und Etablierung von Standards, Methoden und Qualitätskriterien für die Datenerfassung, -ablage und Daten-Zusammenführung.
- Behörden (Regulatoren/HTA): (Weiter)Entwicklung von Leitlinien zur systematischen Nutzung von RWD/RWE sowie stärkere Einbeziehung von RWE in regulatorische Entscheidungen und HTA.
- Gesellschaft, Patientinnen und Patienten: Stärkung des Vertrauens durch Transparenz und Beteiligung sowie Einwilligung in die Verwendung ihrer (anonymisierten) Gesundheitsdaten im Sinne des allgemeinen Patientenwohls.

Version 1.0, Stand 1.6.2026

