

# Gebruik van Real World Data in ALS medicijnstudies

Ruben P.A. van Eijk,<sup>1,2</sup> Leonard H. van den Berg,<sup>1</sup> Ying Lu<sup>2</sup>

1) ALS Centrum Nederland; 2) Center for Innovative Study Design, Stanford University, Verenigde Staten

## Introductie

- Er zijn steeds meer kandidaat medicijnen voor ALS en de kosten van medicijnonderzoek stijgen
- De wens vanuit de patiënt is om minder placebo's te gebruiken en studies korter te laten duren
- Dit stelt nieuwe eisen aan medicijnonderzoek en vergt innovatieve oplossingen

## Doel

Integreren van gegevens uit externe bronnen in medicijnonderzoek voor ALS

## Methode

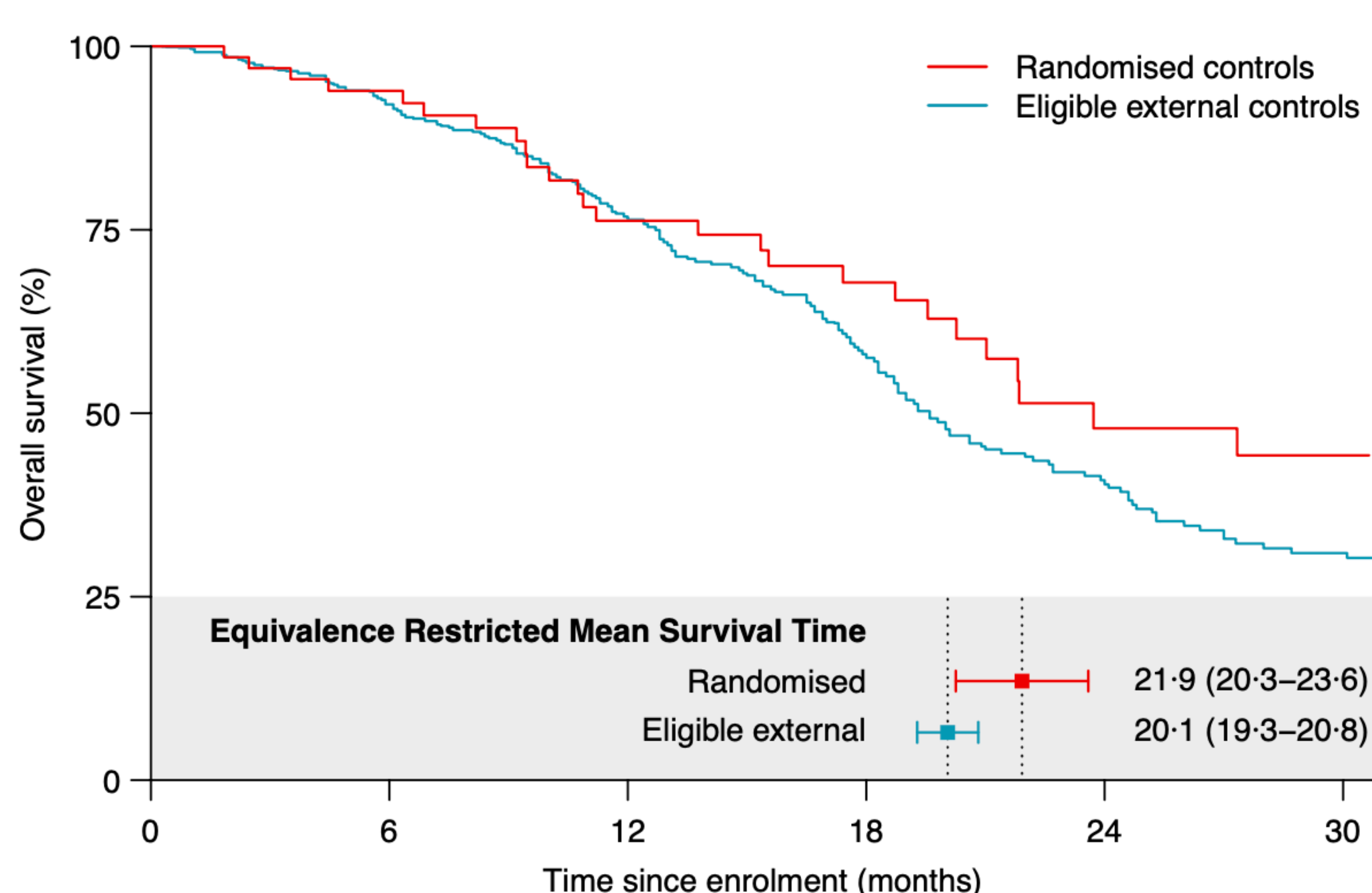
Heranalyse van een oude medicijnstudie naar lithium met externe gegevens uit het Nederlands ALS register. De placebo arm van de medicijnstudie werd aangevuld met gegevens van patiënten die in aanmerking kwamen voor de studie, maar niet deelnamen.

## Resultaten

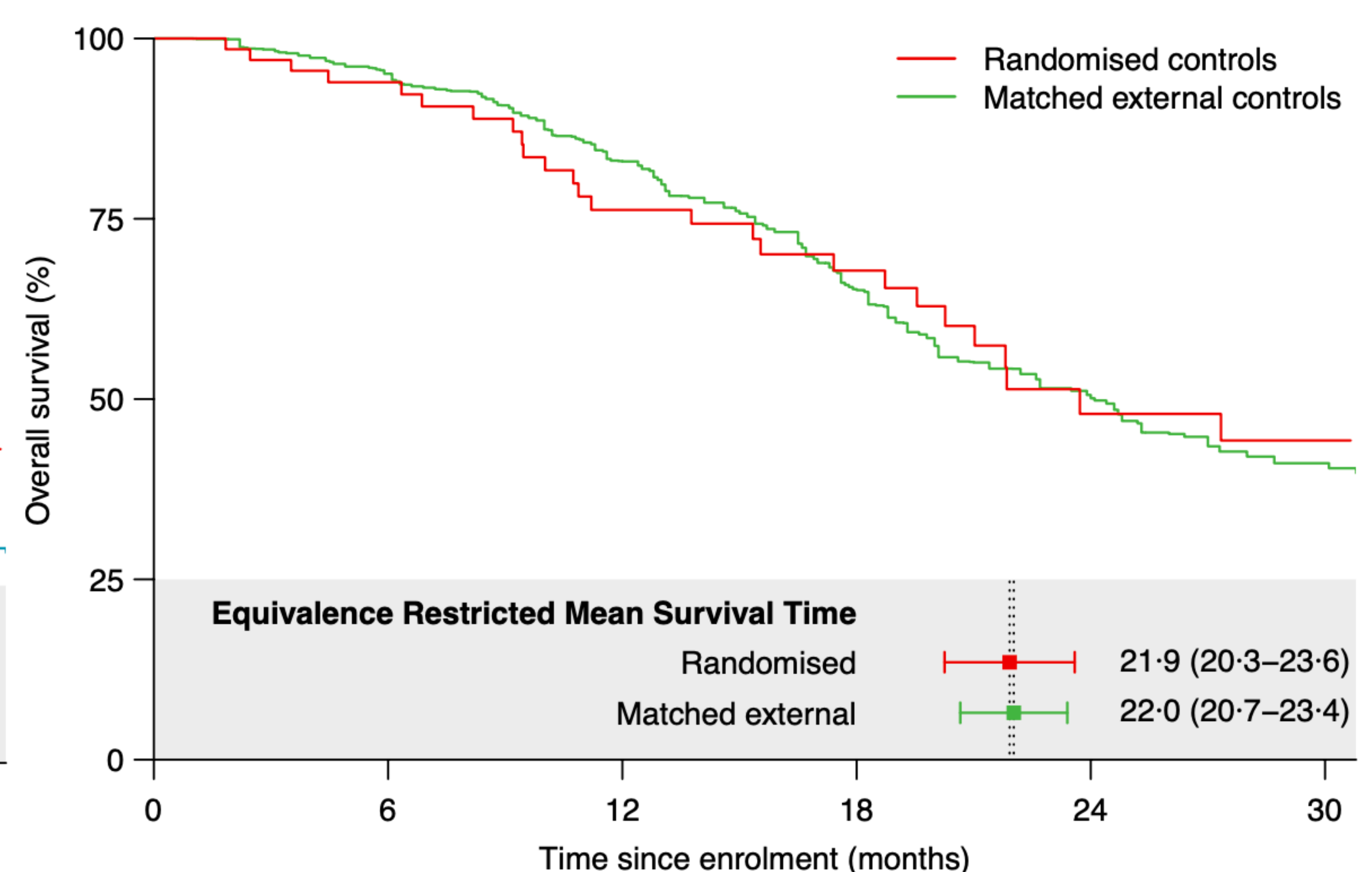
Door gebruik te maken van externe gegevens kon de medicijnstudie 25% eerder worden gestopt en waren er 13% minder patiënten nodig.

Karakteristiek	Alle patienten (N = 1,141)	Patienten voldoen aan criteria	
		Niet deelnemer (N = 340)	Deelnemer (N = 133)
Leeftijd in jaren	62 (12)	64 (11)	58 (12)
Geslacht	59% man	59% man	60% man
Ziekte duur	11.6 maanden	10.9 maanden	12.4 maanden
Long functie	89%	93%	95%
$\Delta$ ALSFRS-R	-0.58 pt/mnd	-0.59 pt/mnd	-0.50 pt/mnd
BMI	24.8	24.6	25.4

Tabel 1. Karakteristieken van patiënten met ALS in de populatie en in medicijnonderzoek



Figuur 1: Overleving voor matching



Figuur 2: Overleving na matching

## Conclusie & toekomstige mogelijkheden

- Externe gegevens kunnen medicijnstudies voor ALS efficiënter maken en het gebruik van placebo verminderen
- Het opzetten van grote internationale databanken is belangrijk om deze techniek verder te verbeteren