Externe Validität maßgeblicher Januskinase-Inhibitor (JAKi) Studien: Anwendung der Ein- und Ausschlusskriterien auf Patient*innen der Routineversorgung

Ghislaine Blum[1], Adrian Richter[1, 2], Alina Purschke[1], Rieke H. E. Alten[3], Anke Liebhaber[4], Ilka Schwarze[5], Angela Zink[1], Anja Strangfeld[1, 6]

[1] Deutsches Rheuma-Forschungszentrum Berlin, Programmbereich Epidemiologie und Versorgungsforschung, Berlin, Deutschland [2] Abteilung SHIP-KEF: Klinisch-Epidemiologische Forschung, Institut für Community Medicine, Universitätsmedizin Greifswald, Greifswald, Deutschland [3] Alexianer St. Gertrauden-Krankenhaus, Abteilung für Rheumatologie, Berlin, Deutschland [4] Rheumatologische Praxis, Halle/Saale, Deutschland [5] Rheumatologische Praxis, Leipzig, Deutschland [6] Charité - Universitätsmedizin Berlin, Medizinische Klinik mit Schwerpunkt Rheumatologie und klinische Immunologie, Berlin, Deutschland

Präsentation:
Abstractsession Epidemiologie & Versorgungsforschung, MZF 4, Sa., 12.09.2026, 11:30 Uhr

RhK 2026 | Abstract Nr. 80 | EV.06

SCHLUSSFOLGERUNG

Die **Generalisierbarkeit** der **zulassungsrelevanten JAKi-RCTs** ist stark **eingeschränkt**. Die Mehrheit der **RA-Patient*innen** in der **Routineversorgung** ist **nicht adäquat repräsentiert**. Studien aus der Routineversorgung wie **RABBIT** spielen folglich eine **Schlüsselrolle** bei der Gewinnung von **Erkenntnissen** zu **Effektivität und Sicherheit** neuer Therapien.

EINLEITUNG

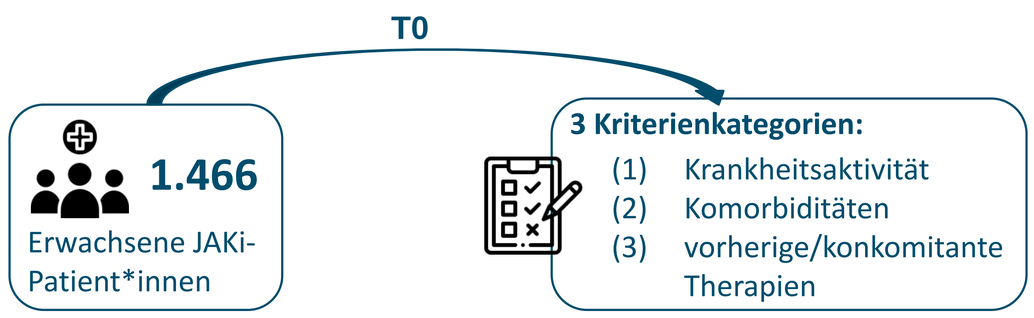
- Randomised Clinical Trials (RCTs) gelten als Goldstandard zur Untersuchung der Wirksamkeit neuer Medikamente; ihre externe Validität ist jedoch eingeschränkt, u. a. aufgrund strenger Einschlusskriterien
- Laut Zink et al. [1] (2006) wären nur 21-33% der Patient*innen im RABBIT-Register in maßgebliche Studien zu Tumornekrosefaktor-Inhibitoren bei rheumatoider Arthritis (RA) eingeschlossen worden
- Seit Zulassung der ersten JAKi für RA in Deutschland 2017 ist die externe Validität der zugrundeliegenden Studien unklar

ZIEL

Abschätzung der Generalisierbarkeit der JAKi-Zulassungsstudien an einer unselektierten Population durch exemplarische Anwendung der Ein- und Ausschlusskriterien dieser RCTs auf RA-Patient*innen der Routineversorgung

METHODIK

- **19 RCTs**, durchschnittlich 11 Ein- (min:5; max:14) und 27 (17; 40) Ausschlusskriterien

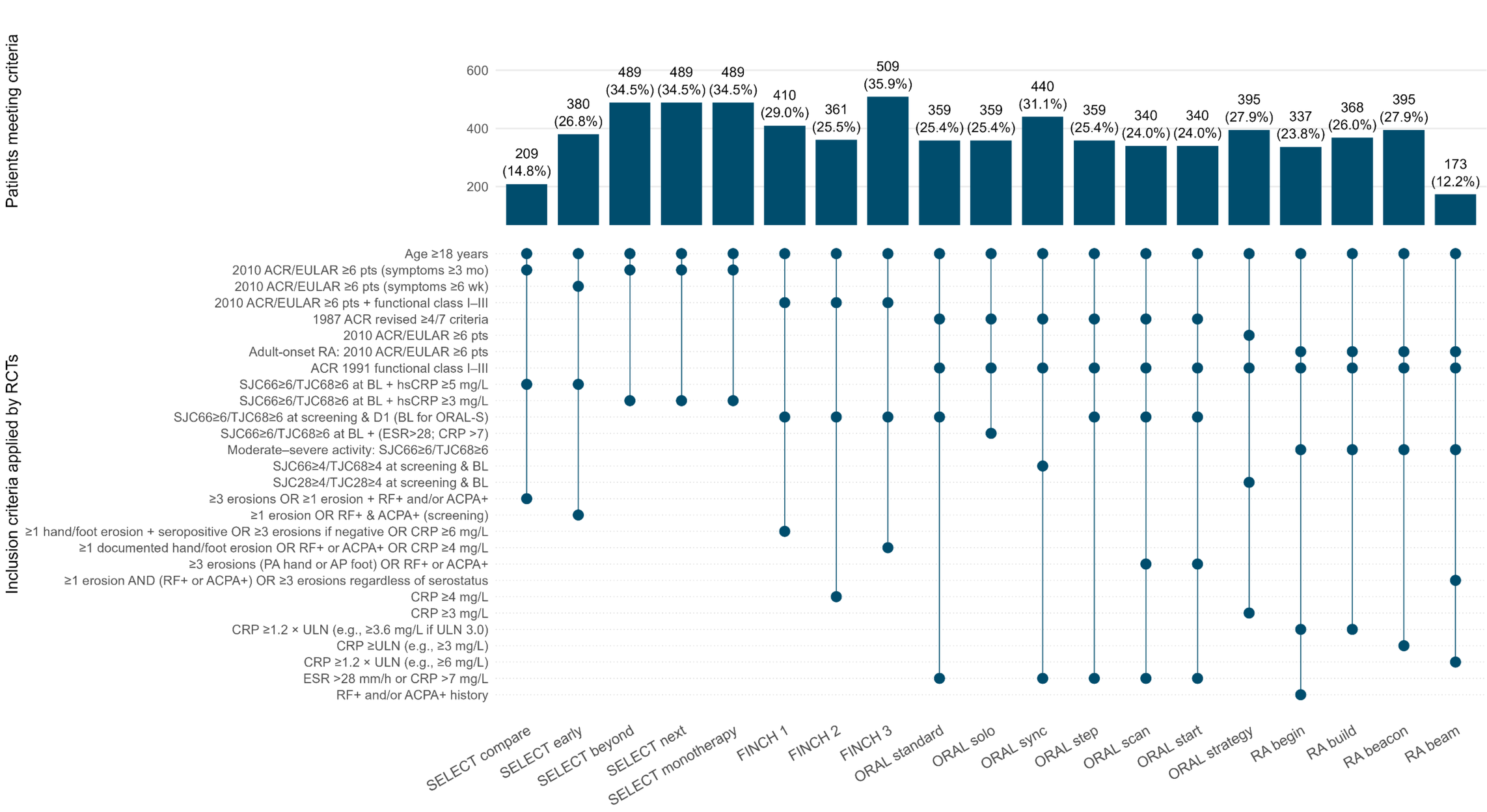


- JAKi-Beginn bei Einschluss in RABBIT zwischen 1/2017 und 12/2025
- **inklusive** (konservative) **Vorgehensweise**: Bei fehlenden Werten/fehlender Erfassung in RABBIT galten die Kriterien als erfüllt (Einschlusskriterien) bzw. nicht erfüllt (Ausschlusskriterien)

ERGEBNISSE

- Nach Anwendung aller Kriterien wären nur **0.0-10.3%** der RABBIT-Patient*innen unter einer neuen JAKi-Therapie in die JAKi-RCTs eingeschlossen worden; allein anhand der Kriterien für **Krankheitsaktivität** (Abbildung 1) waren dies **12.2-35.9%**, für **Komorbiditäten 53.5-67.9%** und für **vorherige/konkomitante Therapien 0.0-74.1%**
- **Alle RCTs** schlossen **nur Patient*innen mit moderater bis hoher Krankheitsaktivität** ein, meist definiert durch einen Tender (TJC) und Swollen Joint Count (SJC) von ≥ 6/68 (TJC) und 66 (SJC) Gelenken und ebenfalls erhöhte Entzündungsparameter
- RABBIT-Patient*innen waren in der Kategorie Krankheitsaktivität am häufigsten aufgrund der Kriterien zum Gelenkstatus nicht RCT-kompatibel
- **Alle Studien schlossen** Patient*innen mit einer **malignen Erkrankung**, bestimmten (schweren) **Infektionen** und **kardiovaskulären Ereignissen aus**

Abbildung 1. *Absolute und relative Anzahl potenziell geeigneter RABBIT-Patienten pro Studie (Balkendiagramm) nach Anwendung der Einschlusskriterien zur Krankheitsaktivität für die jeweilige RCT (blaue Punkte unter dem Balken der jeweiligen Studie).*



Offenlegungserklärung GB erhielt ein Stipendium der Sonnenfeld-Stiftung Berlin. RABBIT wird derzeit gemeinsam von AbbVie, Alfasigma, Biocon, Fresenius Kabi, Hexal, Lilly, Pfizer, Samsung Bioepis und Sanofi Aventis, sowie ehemals von Amgen, BMS, Celltrion, MSD, Roche und UCB unterstützt. Die Studienleitung am DRFZ hat die volle akademische Freiheit. Für die Erstellung des Posters wurden Ressourcen von Flaticon.com genutzt.

Quellenangaben
[1] PMID: 17075823

ghislaine.blum@drfz.de