

Besondere Bedürfnisse von Patienten mit seltenen Erkrankungen

Positionspapier der Arbeitsgemeinschaft Therapie Seltene Erkrankungen

Die Arbeitsgemeinschaft Therapie Seltene Erkrankungen (ATSE) ist eine informelle Arbeitsgruppe von pharmazeutischen Unternehmen, die sich auf dem Gebiet der Erforschung und Entwicklung innovativer Therapien für seltene Erkrankungen spezialisiert haben. Die ATSE besteht derzeit aus sechs Unternehmen, die auf dem deutschen Markt präsent sind: **Alexion**, **Biomarin**, **Celgene**, **Intermune**, **Shire** und **SOBI**. Sie wirbt um politisches Verständnis für die besonderen Bedingungen, unter denen Arzneimittel für seltene Erkrankungen (so genannte Orphan Drugs) entwickelt werden und setzt sich für gesetzliche Rahmenbedingungen ein, die Patienten mit seltenen Erkrankungen langfristig den Zugang zu innovativen Therapien sichern, welche ihre Lebenssituation verbessern können.

Was sind seltene Erkrankungen?

Laut europäischer Definition¹ wird von einer seltenen Erkrankung gesprochen, wenn weniger als 5 von 10.000 Personen davon betroffen sind. Darüber hinaus muss es sich um ein lebensbedrohendes oder chronisches Leiden handeln. Die Auswirkungen dieser Krankheiten auf Patienten und ihre Familien sind dementsprechend tiefgreifend, da die schwerwiegenden, chronischen oder fortschreitenden Leiden häufig schon in früher Kindheit beginnen und für die Betroffenen – ohne wirksame Therapie – in der Regel dauerhafte Schmerzen, Behinderungen, signifikante Organschäden und teils hohe Sterblichkeitsraten bedeuten.

Herausforderungen für Behandelnde und Patienten

Seltene Erkrankungen stellen Patienten wie Behandler vor große Schwierigkeiten: Die häufig geringen wissenschaftlichen Erkenntnisse über diese Krankheiten und die entsprechend kleine Anzahl klinischer Experten führen oft zu verspäteten Diagnosen, Falschdiagnosen und in der Folge unangemessenen Behandlungen.

Aufgrund von Falschdiagnosen oder fehlender Therapiemöglichkeiten wird das Leben von Menschen mit seltenen Erkrankungen meist von ihrem Leiden dominiert: Verpasste Schul- und Arbeitstage, häufige Untersuchungen bei weit entfernten Fachärzten, kosten- und zeitintensive Tests zur Diagnosestellung sowie zahlreiche Behandlungsversuche belasten Patienten, ihre Familien und die Gesellschaft nicht nur finanziell stark, sondern bedeuten zu allererst unendlich viel persönliches Leid der Patienten und ihrer Familien. Wegen der sehr geringen Zahl betroffener Menschen fehlt es den meisten Patientengruppen an einer wirksamen politischen Interessenvertretung, um ihre Bedürfnisse zu artikulieren.

Therapien für seltene Erkrankungen – aufwändige F&E für nur wenige Patienten

Die Seltenheit der Erkrankungen stellt darüber hinaus aber auch für die Erforschung und Entwicklung von Arzneimitteln zu ihrer Behandlung ein Problem dar. So ist es z.B. besonders schwierig, eine ausreichende Anzahl an Patienten für die Teilnahme an klinischen Studien zu rekrutieren, da die kleinen Patientenpopulationen in der Regel geografisch weit verstreut leben. Der mit der Durchführung der meist multinationalen klinischen Studien verbundene Verwaltungsaufwand ist enorm und verzögert diese zusätzlich. Weil seltene Erkrankungen oft lebensbedrohliche Folgen für die Patienten haben, sind derartige Verzögerungen besonders problematisch.

Mit einer durchschnittlichen Dauer von 12 bis 13 Jahren von der ersten Synthese bis zur Markteinführung² liegen die Kosten der Medikamentenentwicklung in diesem Bereich ähnlich hoch wie bei Arzneimitteln weit verbreiteter Erkrankungen. Bereits ältere Studien schätzen die durchschnittlichen Entwicklungskosten eines

¹ Definition nach der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. Dezember 1999 über Arzneimittel für seltene Leiden sowie nach der Richtlinie 2011/24/EU des Europäischen Parlaments und des Rates vom 9. März 2011 über die Ausübung der Patientenrechte in der grenzüberschreitenden Gesundheitsversorgung.

² Basierend auf Erfahrung der Industrie.

Arzneimittels auf bis zu 1,3 Mrd. US Dollar (etwa 1 Mrd. Euro)³ – Tendenz stark steigend. Ähnlich hohen Forschungskosten wie bei Arzneimitteln für häufigere Erkrankungen stehen jedoch im Bereich der seltenen Erkrankungen nur sehr kleine Patientenzahlen gegenüber; besondere Forschungsanreize – wie mit Verabschiedung der EU-Verordnung zu Orphan Drugs 1999 geschehen – sollen deren Erforschung und Entwicklung daher wirtschaftlich attraktiver machen.

Gegenüber den Gesamtausgaben des Gesundheitswesens fällt der Kostenanteil für die Behandlung seltener Erkrankungen trotz der erheblichen Entwicklungskosten für Orphan Drugs gering aus: Die Gesetzlichen Krankenversicherungen (GKV) gaben 2010 laut Arzneiverordnungsreport rund 996 Mio. Euro für Orphan Drugs aus⁴ – auf den gesamten Arzneimittelumsatz von 29,73 Mrd. Euro⁵ bezogen macht das einen Anteil von 3,4 %. In Relation zu allen GKV-Ausgaben im Jahr 2010, die sich auf rund 176 Mrd. Euro⁶ beliefen, beträgt der Anteil 0,6 %.

Bei allen Berechnungen darf jedoch nicht vergessen werden, dass diese Therapien nicht selten überlebenswichtig sind, die Erkrankungen von Menschen mit seltenen Leiden erträglicher machen und häufig die wirtschaftliche Produktivität und soziale Teilhabe der Patienten voll wiederherstellen können.

Politik muss den Therapiezugang für Patienten mit seltenen Erkrankungen sicherstellen

Wenn der langfristige Zugang zu wirksamen Therapien für Patienten mit seltenen Erkrankungen ein vereinbartes Ziel der Gesundheitspolitik ist, so muss der Gesetzgeber Orphan Drugs bei der Arzneimittelregulierung in besonderem Maße berücksichtigen und – falls nötig – Ausnahmenregelungen für sie treffen. Dies entspricht der Zielsetzung der EU-Verordnung über Arzneimittel für seltene Leiden (141/2000), die den besonderen Beitrag der Hersteller von Orphan Drugs anerkennt, die sich ansonsten unberücksichtigter Patientenbedürfnisse annehmen.

Die Arbeitsgemeinschaft Therapie Seltene Erkrankungen hat sich daher auf folgende Positionen verständigt:

1. Die F&E von Arzneimitteln zur Behandlung von bisher nicht therapierbaren Menschen mit seltenen und oft lebensbedrohlichen Erkrankungen unterscheidet sich von der Medikamenten-Entwicklung für weit verbreitete Krankheiten: Unternehmen, die in Orphan Drugs investieren, akzeptieren die besonderen Herausforderungen im Bereich der F&E und nehmen angesichts einer sehr begrenzten Anzahl von Patienten für ihre zukünftigen Produkte größere Risiken auf sich.
2. Die deutsche Gesundheitspolitik hat kürzlich eine Reihe von Sparmaßnahmen eingeführt, darunter ein Preismoratorium und die Erhöhung des Herstellerrabatts. Diese Maßnahmen treffen besonders schwer die kleinen und mittleren forschenden Biotech-Unternehmen und deren Entwicklung von Orphan Drugs, die nur etwa 3,4 % der Arzneimittelausgaben in Deutschland ausmachen. Um die Forschung, Entwicklung und Vermarktung von Produkten zur Behandlung seltener Erkrankungen nicht zu gefährden, sollten bei derartigen Sparmaßnahmen künftig Sonderregelungen für Orphan Drugs angedacht werden.
3. Die mit AMNOG eingeführte Orphan-Drug-Regelung im Rahmen der frühen Nutzenbewertung hat sich grundsätzlich bewährt. Allerdings sollte überprüft werden, ob es sinnvoll ist, für Orphan Drugs das Ausmaß des Zusatznutzens für verschiedene Patientengruppen zu prüfen. Da für Hersteller EU-weit zugelassener Medikamente mit Orphan-Drug-Status der Zusatznutzen als belegt gilt und sie diesen in ihren Dossiers nicht nochmals nachweisen müssen, können sie dessen Ausmaß für einzelne Patientengruppen auch nicht darstellen. Die Regelung ist unserer Ansicht nach nicht logisch, zumal sowohl die Vergabe des Orphan-Drug-Status durch die EMA als auch die Marktzulassung zwei umfangreiche Bewertungsprozesse erfordern, welche die entsprechenden Arzneimittel zu diesem Zeitpunkt bereits eingängig auf ihren Nutzen – nämlich erstmals eine bestimmte, seltene Erkrankung wirksam therapieren zu können – und ihre Risiken überprüft haben.

³Vgl. hierzu DiMasi J.A., Grabowski H.G. (2007), The Cost of Biopharmaceutical R&D: Is Biotech Different?, in: Manage. Decis.Econ. 28: 469-479; und Vernon J.A. et al. (2010), Drug Development Costs When Financial Risk Is Measured Using The FAMA-French Three-Factor Model, in: Health Econ. 19: 1002-1005.

⁴Vgl. Schwabe U. (2011), Orphan Arzneimittel, in: Schwabe U., Paffrath D. (Hrsg.), Arzneiverordnungsreport 2011, Abb. 3.2, S. 132

⁵Vgl. Schwabe U. (2011), Arzneiverordnungen 2010 im Überblick, in: Schwabe U., Paffrath D. (Hrsg.), Arzneiverordnungsreport 2011, S. 4.

⁶Vgl. Bundesministerium für Gesundheit (2011), Finanzentwicklung der Krankenkassen in 2010 unterstreicht die Notwendigkeit des GKV-Finanzierungsgesetzes – 2011 reichen Zuweisungen zur Deckung der Ausgaben, Pressemitteilung Nr. 15, 7. März 2011, Berlin.