

ATSE Forderungskatalog zu den Bundestagswahlen 2021 – Kurzzusammenfassung

Im folgenden Forderungskatalog formuliert die „Arbeitsgemeinschaft Therapie Seltene Erkrankungen“ (ATSE) acht zentrale Forderungen und Positionen im Zuge der im September 2021 anstehenden Bundestagswahlen.

Bei der ATSE handelt es sich um eine Arbeitsgemeinschaft von sechs pharmazeutischen Unternehmen, die sich stark für die Erforschung und Entwicklung von Medikamenten und Therapien zur Behandlung von seltenen Erkrankungen, sogenannten Orphan Drugs, engagieren. Zu den Mitgliedern der ATSE zählen die Unternehmen Alexion, BioMarin, Bristol Myers Squibb, Chiesi, Takeda und Vertex.

In den kommenden vier Jahren stehen im Bereich der Versorgung von Menschen mit seltenen Erkrankungen (sE) einige wegweisende Entscheidungen an. Dabei wurden vier zentrale Handlungsfelder identifiziert, deren Bedeutung nach Ansicht der ATSE von großer Relevanz ist.



Beim ersten Themenkomplex handelt es sich darum, **„Seltene Erkrankungen rechtzeitig erkennen und behandeln“** zu können.

Konkret fordert die ATSE:

1. Es gilt, die Gesellschaft für die Wichtigkeit einer schnellen Diagnose und Behandlung zu sensibilisieren, um die Versorgung der Betroffenen auch in den kommenden Jahren nachhaltig auszubauen. Hier ist aus Sicht der ATSE auch die Politik gefordert, die Weichen dafür nachhaltig zu stellen.
2. Das „Frühwarnsystem“ des Neugeborenen Screenings muss ausgeweitet und neue Zielerkrankungen in effizienterer und transparenterer Weise mit konkreten Fristen - ähnlich dem AMNOG - definiert werden. Das frühzeitige Erkennen einer sE ist oft die Voraussetzung dafür, Betroffene noch wirksamer behandeln zu können.



Beim zweiten Themenkomplex geht es um einen **„verbesserten Zugang zu Gesundheitsdaten zur Erforschung von seltenen Erkrankungen“**.

Die Herausforderung bei sE liegt darin, dass es einerseits eine große Anzahl an Erkrankungen gibt (es kann von 6.000-8.000 seltenen Erkrankungen ausgegangen werden), jedoch vergleichsweise wenige Betroffene je Leiden. Aus diesem Grund müssen die Daten, die durch die wenigen Betroffenen generiert werden können, viel effizienter genutzt werden:

3. Eine Vereinheitlichung von bereits bestehenden bzw. eine Ausweitung durch weitere Datensysteme zur effizienteren Nutzung und Erfassung von Patientendaten von an seltenen Erkrankungen leidenden Menschen ist dringend notwendig.
4. Unternehmen benötigen einen verbesserten Zugang zu Gesundheitsdaten, um sE besser erforschen und Therapien schneller entwickeln zu können. Sie benötigen insbesondere ein Antragsrecht beim Forschungsdatenzentrum.
5. Eine anwendungsbegleitende Datenerhebung unterstützt die ATSE, wenn diese zu mehr Evidenz beiträgt, also den Kriterien einer sichergestellten Fragestellung, der Verhältnismäßigkeit und der Umsetzbarkeit entspricht.



Der ATSE ist es durchaus bewusst, dass im Zusammenhang mit Therapien stets auch die Frage nach der **„Finanzierung von Orphan Drugs in Deutschland“** eine zentrale Rolle spielt. So plant die Politik beispielsweise durch eine Zwangssubstitution von biotechnologisch hergestellten Arzneimitteln in den Apotheken durch sogenannte Biologikalternativen die Kosten für die Krankenversicherungen zu senken. Auch wenn nicht alle Biosimilars in Orphan-Indikationen angewendet werden, möchte die ATSE darauf aufmerksam machen, dass solche Substitutionen, insbesondere im Kontext seltener Erkrankungen, unverhältnismäßige Eingriffe in die meist sehr sensible und fein abgestimmte Therapie von Patientinnen und Patienten darstellt. Entsprechend setzt sich die ATSE für die folgenden Ziele ein:

6. Erhalt der Verfahren im Rahmen des Arzneimittelmarktneuordnungsgesetzes (AMNOG), insbesondere der Orphan Drug Regelung, in seiner heutigen Form zur Arzneimittelpreisfestlegung bei seltenen Erkrankungen.
7. Verhinderung der Zwangssubstitution von biotechnologisch hergestellten Arzneimitteln durch Biosimilars in den Apotheken bei Orphan-Indikationen. Eine Anpassung des „Gesetzes für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung“ (GSAV) ist dahingehend dringend notwendig.



In Bezug auf den **„Pharmastandort Deutschland in Europa“** wird die ATSE den Prozess der Anpassungen der Orphan-Drug-Verordnung genau beobachten, da europäische Regeln auch immer einen Einfluss auf die Situation in Deutschland haben werden.

8. Beibehaltung deutscher Standards in der Versorgungssicherung trotz europäischer Anpassungen im Rahmen der Orphan-Drug-Verordnung.