

Wenn „selten“ zum Problemfall wird

Arzneimittelentwicklung. Seltene Erkrankungen sind für die Pharmabranche finanziell herausfordernd. Incentives zeigen aber Wirkung.

Auch wenn sie als definitionsgemäß jeweils bei weniger als fünf von 10.000 Menschen vorkommen, so beträgt die Gesamtzahl der von einer seltenen Erkrankung Betroffenen allein in der EU geschätzte 30 Millionen. Hoch problematisch ist dabei der Umstand, dass es für rund 95 Prozent dieser „Orphan Diseases“ keine spezifischen Behandlungsmöglichkeiten gibt.

Was die Entwicklung von Therapien aus dem ökonomischen Blickwinkel der Arzneimittelhersteller betrifft, lässt sich der Missstand aus der Schwierigkeit erklären, hohen finanziellen Aufwand für kleine Patientengruppen rentabel zu betreiben. Bemühungen, dieses Problem europaweit in den Griff zu bekommen, gibt es bereits seit dem Jahr 2000. Um die

Forschung anzukurbeln, unterstützt das Orphan-Designation-Programm der EU (Europäische Verordnung über Arzneimittel für Seltene Erkrankungen) seit damals Biotech- und Pharmaunternehmen mit Förderungen und anderen Incentives, wie reduzierte Zulassungsgebühren sowie zehnjähriger Marktexklusivität bei der Entwicklung von Therapien gegen seltene Erkrankungen.

Fortschritte spürbar

Die positiven Auswirkungen: Die Forschungsaktivitäten haben in den letzten 20 Jahren deutlich zugenommen und rund 200 Orphan Drugs wurden in allen wichtigen Therapiegebieten zugelassen. Die Kehrseiten: der noch lange nicht gedeckte Bedarf an angemessenen Therapien sowie das schlechte Ver-

hältnis zwischen Anträgen für einen Orphan-Status und Zulassungen. So schafft es nur eines von 80 Arzneimitteln zur Behandlung von seltenen onkologischen Erkrankungen vom frühen klinischen Entwicklungsstadium auch auf den Markt. „Das zeigt den Risikofaktor. Pharmaunternehmen investieren lang und viel, haben jedoch keine Erfolgsgarantie“, sagt Helga Tieben vom Verband der pharmazeutischen Industrie Österreichs (Pharmig). Kritiker sprechen wiederum von unverhältnismäßig großen Anreizen für Pharmabetriebe. Hohe Preisforderungen vonseiten der Arzneimittelhersteller würden die allgemeine Forderung im heimischen Gesundheitssystem nach einem leistbaren Zugang von hochqualitativen Therapien für alle Patienten konterkarieren.

Die Suche nach Lösungen geht also weiter. „Pharmaunternehmen sollten stärker in die Pflicht genommen werden, sich bei der Vermarktung abzustimmen und bestehende Produkte optimaler zu nutzen“, lautet etwa eine Forderung von Christa Wirthumer-Hoche, Leiterin der AGES Medizinmarktaufsicht.

Arzneien neu nutzen

Gemeint ist damit unter dem Stichwort „Repurposing“ die Beurteilung von Medikamenten, um eine Krankheit zu behandeln, für das es nicht zugelassen oder klinisch getestet wurde. „Das ist auf jeden Fall ein smarterer Zugang. Vor allem wenn man wie bei seltenen Erkrankungen in der Wirtschaftlichkeitsfalle sitzt“, meint Ruth Ladenstein, Leiterin der Arbeitsgruppe Studien

und Statistik der St. Anna Kinderkrebsforschung. Experten fordern zudem eine Open-Access-Strategie, sprich die offene Bereitstellung von Forschungsdaten und Publikationen: „Das wäre eine Möglichkeit, um Preise im Zaum zu halten. Bei der Entwicklung der Covid-Impfstoffe hat dies bereits weltweit funktioniert“, sagt Claudia Wild, Geschäftsführerin des Austrian Institute for Health Technology Assessment. Für einen kooperativen Ansatz plädiert auch Thomas Müller, Direktor der Innsbrucker Univ.-Klinik für Pädiatrie: „Gerade im Bereich der seltenen Kinderkrankheiten brauchen wir eine staatliche Förderung der privaten Grundlagenforschung. Die Industrie muss frühzeitig einbezogen werden, um eine Verzahnung für innovative Forschung zu schaffen.“ (CLE)