

# EU-Entwicklungen im Arzneimittelbereich

**Gesundheitsunion.** Die Förderung von Therapie-Innovationen unter Wahrung von Verfügbarkeit und Leistung sind zentrale Themenfelder der EU-Arzneimittelstrategie. Im Gespräch sind auch Anreizsysteme für pharmazeutische Forschung und Entwicklung, insbesondere bei Seltenen Erkrankungen und Kinderarzneimitteln.



Der Aufbau einer „europäischen Gesundheitsunion“ – so lautet die Zielsetzung der Europäischen Kommission. Als zentraler Baustein gilt dabei die „pharmaceutical strategy for Europe“, also die EU-Arzneimittelstrategie. In welchen Bereichen die neuen gemeinsamen europäischen Ansätze eine zentrale Rolle spielen, erläuterte Martin Schaffenrath, österreichisches Mitglied des Europäischen Wirtschafts- und Sozialausschusses (EWSA): „Im Vordergrund stehen der Zugang zu und die Verfügbarkeit von Arzneimitteln, die Leistung und die finanzielle Tragfähigkeit der nationalen Gesundheitssysteme sowie die Förderung von Forschung und Innovation zur Stärkung der Wettbewerbsfähigkeit der europäischen Arzneimittelindustrie. Angestrebt wird zudem die Stärkung resilientier und transparenter Liefer- und Produktionsketten.“

Wie komplex diese Aufgabstellung ist, zeigt sich an den unterschiedlichen, teils kontroversiellen Standpunkten, die zu diesem Thema von Behörden, der Pharmaindustrie, den Sozialversicherungsträgern oder Patientenvertretern eingenommen werden. Beim 129. Praevenire Gipfelgespräch auf der alten Schafalm des Böglerhofes in Alpbach wurde dieser Diskurs aufgegriffen. Experten aus allen Lagern beleuchteten die aktuellen europäischen Entwicklungen – und legten dabei den Fokus insbesondere auf den Bereich der Seltenen Erkrankungen und Kinderarzneimittel.

## Seltene Erkrankungen

Als selten bezeichnet man Erkrankungen, die weniger als fünf von 10.000 Menschen betreffen. Von den rund 30.000 insgesamt bekannten Krankheiten zählen 6000 bis 8000 zu den Seltenen Erkrankungen, mehr als 50 Prozent davon betreffen Kinder. In Österreich leiden etwa 400.000 Menschen (das ent-

spricht sechs bis acht Prozent der Bevölkerung) an den sogenannten Orphan Diseases („verwaiste Krankheiten“), innerhalb der EU schätzt man die Zahl auf 30 Millionen. Für die meisten Erkrankungen (über 95 Prozent) gibt es bisher keine spezifische Therapie.

Geht es nach den Plänen der EU, muss dieser hohe ungedeckte Bedarf an angemessenen Therapien einen Schwerpunkt in den zukünftigen Gesundheitsstrategien begründen, insbesondere was Forschung und Entwicklung betrifft. Bemühungen in diese Richtung gibt es bereits seit dem Jahr 2000. Das Orphan-Designation-Programm der EU (Europäische Verordnung über Arzneimittel für Seltene Erkrankungen) unterstützt seit damals Biotech- und Pharmaunternehmen mit Förderungen und anderen Incentives, wie zum Beispiel reduzierten Zulassungsgebühren sowie einer zehnjährigen Marktexklusivität bei der Entwicklung von Therapien gegen Seltene Erkrankungen. In den Jahren 2000 bis 2019 wurden 3443 Anträge auf Erteilung des Orphan-Drug-Status gestellt. 2233 davon erhielten die Zuerkennung, von denen bislang allerdings nur 164 die Zulassung als Orphan Drug erreichten. „Diese Zahlen verdeutlichen die Herausforderung für die Pharmaindustrie“, sagt Helga Tieben, Director Regulatory Affairs, Supply & Innovation, beim Verband der pharmazeutischen Industrie Österreichs (PHARMIG). „Wir befinden uns in einem Geschäft mit hohem Risiko. Unternehmen investieren lang und viel, haben jedoch keine Erfolgsgarantie.“ Hohe Preisforderungen vonseiten der Arzneimittelhersteller seien eine der Folgen, die wiederum die allgemeine Forderung nach einem leistbaren Zugang von hochqualitativen Therapien für alle Patienten konterkarieren. Der Europäische Wirtschafts- und Sozialausschuss betont in diesem Zusammen-

hang, dass der Status eines Arzneimittels für Seltene Erkrankungen nicht für unverhältnismäßige Preisforderungen genutzt werden darf.

## Anreize für die Forschung

Befürwortet wird eine Überarbeitung des Rechtsrahmens, etwa mit einer regelmäßigen automatischen Reevaluation der Kriterien sowie einer Anpassung der Dauer der Marktexklusivität unter bestimmten, noch zu definierenden Voraussetzungen. Der EWSA unterstützt ebenso eine mögliche Überarbeitung der Kriterien bezüglich der Ausweisung als Arzneimittel für Seltene Erkrankungen (etwa was die Kennzahl der Prävalenz, sprich der Krankheitshäufigkeit, betrifft).

Auch bei der Europäische Arzneimittel-Agentur (EMA) macht man sich Gedanken darüber, wie man die Anreizstruktur für die Erforschung von Seltenen Arzneimitteln weiter optimieren kann. „Wir glauben, dass zum Beispiel eine Unterscheidung zwischen Seltenen (bei 50.000 Personen maximal 25 Betroffene) und äußerst Seltenen Erkrankungen (maximal eine Person betroffen) zu verankern wäre. Und es braucht verschiedene Arten von Unterstützung sowie individuelle Anreize“, sagt Christa Wirthumer-Hoche, Leiterin der AGES Medizinmarktaufsicht und Chair of the Management Board der EMA. Zudem sollten die Pharmaunternehmen stärker in die Pflicht genommen werden, sich besser bei der Vermarktung abzustimmen und bestehende Produkte optimaler zu nutzen.

## Neue, smarte Zugänge

„Repurposing“ lautet zu Letzterem das Schlagwort. Gemeint ist damit 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 zu einer Lösung. Vor allem wenn man

(v. l. n. r.): Martin Schaffenrath, Mitglied des Verwaltungsrates der ÖGK & Öst. Mitglied des EWSA; Claudia Wild, Geschäftsführerin des Aust. Institute for Health Technology Assessment; Helga Tieben, Director Regulatory Affairs, Supply & Innovation, PHARMIG; Christa Wirthumer-Hoche, Leiterin der AGES Medizinmarktaufsicht & Chair of the Management Board der EMA; Thomas Müller, Direktor der Innsbrucker Univ.-Klinik für Pädiatrie; Ruth Ladenstein, Leiterin der Arbeitsgruppe Studien und Statistik der St. Anna Kinderkrebsforschung; Elisabeth Weigand, Geschäftsführerin von Pro Rare Austria – Allianz für Seltene Erkrankungen; Arno Melitopoulos-Daum, Bereichsleiter Versorgungsmanagement der ÖGK; Fabian Waechter (Moderation).

[Foto: Gattinger]

wie bei Seltenen Erkrankungen in der Wirtschaftlichkeitsfalle sitzt“, meint Ruth Ladenstein, Leiterin der Arbeitsgruppe Studien und Statistik der St. Anna Kinderkrebsforschung. Als bestes Beispiel aus eigener Forschung nennt Ladenstein die ALK-Inhibitoren und die Zulassung eines Wirkstoffes gegen das kleinzellige Lungenkarzinom: „Durch Forschung am Neuroblastom konnte gezeigt werden, dass ALK-Amplifikationen und Mutationen auch hierbei ein signifikant schlechteres Überleben signalisieren und damit eine Indikation für ALK-Inhibitoren gegeben ist. Dies stellt ein hervorragendes Beispiel für das Potenzial von Repurposing im Kinderbereich dar.“

Einen weiteren fortschrittlichen Weg stellt die Open-Access-Strategie dar. So wurden anlässlich der Covid-19-Pandemie national und weltweit Forschungsdaten offen verfügbar gemacht und Publikationen bereitgestellt: „Das wäre eine Möglichkeit, um Preise im Zaum zu halten. Bei der Entwicklung der Impfstoffe hat dies bereits funktioniert“, betont Claudia Wild, Geschäftsführerin des Austrian Institute for Health Technology Assessment. Wichtig ist zudem, dass (anonymisierte) Daten rasch und barrierefrei zur Verfügung stehen: „Ideal wäre ein europäisches Datenregister. Widerstände im Hinblick auf den Datenschutz sind gerade bei den Betroffenen von Seltenen Erkrankungen eher nicht zu erwarten“, meint Elisabeth Wei-

gand, Geschäftsführerin von Pro Rare Austria – Allianz für Seltene Erkrankungen.

Der kooperative Grundgedanke, so Thomas Müller, Direktor der Innsbrucker Univ.-Klinik für Pädiatrie, ist ebenfalls die Basis für erfolgreiche Public-Private-Partnership-Projekte: „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.“

Einig sind sich die Experten, dass die aktuellen Prozesse optimiert werden müssen. „Die Konzepttabellen sind gut. Jetzt gilt es, den idealtypischen Prozess anhand von einigen Beispielen Seltenen Erkrankungen durchzuspielen und alle Verantwortlichen auf einen gemeinsamen Nenner zu bringen“, so Arno Melitopoulos-Daum, Bereichsleiter Versorgungsmanagement der ÖGK. Ziel ist es, die Versorgung zu verbessern, Zugang, Verfügbarkeit und Leistung von Therapien zu sichern und ein Gleichgewicht zu finden, das auch die marktwirtschaftlichen Ansprüche der Industrie berücksichtigt. Dazu sollen auf nationaler Ebene die Entscheidungsträger zu einer gemeinsamen Linie finden, damit Österreich in Brüssel mit einer Stimme auftreten kann. Ein Anfang wurde mit dem 129. Praevenire Gipfelgespräch gemacht, weitere werden folgen.