

VORFAHRT FÜR ARZNEIMITTEL FÜR SELTENE LEIDEN (ORPHAN DRUGS):

Die Kernforderungen des BPI

BPI Bundesverband der
Pharmazeutischen Industrie e.V.





1. Zusatznutzen von Orphan Drugs im AMNOG-Prozess anerkennen

Für Orphan Drugs ist mit der Zulassung belegt, dass noch keine andere zufriedenstellende Behandlungsmethode existiert oder dass das betreffende Arzneimittel – sofern eine solche Methode besteht – einen klinisch relevanten Vorteil oder einen bedeutenden Beitrag zur Behandlung von Patienten liefert.

Für Orphan Drugs ist damit im Rahmen der Zulassung belegt, dass sie über einen erheblichen Zusatznutzen verfügen.

Dieser Zusatznutzen ist vom Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA) im Rahmen des AMNOG-Prozesses anzuerkennen – eine erneute Bewertung dieses Sachverhalts verursacht unnötigen bürokratischen Aufwand ohne einen Mehrwert für die Versorgung der betroffenen Patienten zu schaffen.

Der Gesetzgeber hat mit dem Arzneimittelmarkt-Neuordnungsgesetz (AMNOG) für Orphan Drugs vorgesehen, dass für diese Arzneimittel unterhalb einer Umsatzschwelle von 50 Mio. Euro auf die Vorlage von Unterlagen zum medizinischen Nutzen und zum medizinischen Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie gemäß § 35a Abs. 1 SGB V verzichtet wird. Vorzulegen sind jedoch alle weiteren Unterlagen, insbesondere auch Unterlagen zur Anzahl der Patienten, für die ein therapeutisch bedeutsamer Zusatznutzen besteht. Oberhalb der Umsatzschwelle von 50 Mio. Euro ist ein vollständiges Dossier vorzulegen.

Eine Dossievorlagepflicht ist somit für alle Orphan Drugs gegeben, auch sind für Orphan Drugs auf Basis des Bewertungsverfahrens beim G-BA Erstattungsbeitragsverhandlungen mit dem GKV-Spitzenverband zu führen.

Die Befreiung von der Vorlagepflicht bestimmter Unterlagen im Frühbewertungsverfahren ergibt

sich aus dem Status, den Orphan Drugs im EG-Recht aufgrund der Ausweisung (Designation) als Orphan Drug gemäß der Verordnung (EG) 141/2000 durch die Europäische Kommission genießen und der zum Zeitpunkt der Zulassung bestätigt wird:

Unter Bezug auf das direkt verbindliche Europäische Recht ist die Ausweisung und Zulassung eines Orphan Drug nur dann gegeben,

- wenn in der Gemeinschaft noch keine zufriedenstellende Methode für die Diagnose, Verhütung oder Behandlung des betreffenden Leidens zugelassen wurde oder dass das betreffende Arzneimittel – sofern eine solche Methode besteht – für diejenigen, die von diesem Leiden betroffen sind, von erheblichem Nutzen sein wird (Art. 3 der Verordnung (EG) Nr. 141/2000).

Ergänzend ist auf die Verordnung (EG) Nr. 847/2000 hinzuweisen, die für Ausweisung und Zulassung von Orphan Drugs folgendes festlegt:

- »Erheblicher Nutzen« ist ein klinisch relevanter Vorteil oder ein bedeutender Beitrag zur Behandlung von Patienten (Art. 3 Abs. 2 der Verordnung (EG) Nr. 141/2000).

Für Orphan Drugs ist der Zusatznutzen daher mit der Zulassung belegt. Durch die Bestätigung der Ausweisung ist behördlich festgestellt, dass sie über einen erheblichen Zusatznutzen verfügen.

Aufgrund der gesetzlichen Bindungswirkung der Zulassungsentscheidung, die das Bundessozialgericht bestätigt hat, ist es vor dem Hintergrund der durch die EU-Kommission bestätigten Ausweisung eines Arzneimittels als Orphan Drug im Rahmen der Zulassung geboten, den arzneimittelrechtlich festgestellten Nutzen und Zusatznutzen eines Orphan Drug auch sozialrechtlich durch den G-BA anzuerkennen.

Dies ist der Hintergrund für die Entscheidung des Gesetzgebers, Orphan Drugs von der Vor-

lagepflicht bestimmter Unterlagen im Rahmen des Verfahrens der frühen Nutzenbewertung auszunehmen, da diese Zusammenhänge bereits von einer anderen Behörde – nämlich der EU-Kommission im Rahmen der Erteilung der Ausweisung als Orphan Drug und der Zulassung – hinreichend geprüft worden sind.

Da die dargestellten Zusammenhänge nicht vom Umsatz mit dem betreffenden Arzneimittel abhängen, sondern vielmehr für alle Orphan Drugs gleichermaßen zutreffen, sollte ohne Betrachtung einer Umsatzschwelle der Zusatznutzen von Orphan Drugs im AMNOG-Verfahren in jedem Fall als belegt gelten.

Vielfach wird behauptet, dass für Orphan Drugs

in ungerechtfertigter Weise geringere Anforderungen an die Zulassung gestellt werden als für Arzneimittel für Patienten in größeren Indikationsgebieten.

Es ist sicherlich nachvollziehbar, dass eine klinische Prüfung an wenigen Patienten anders zu konzipieren ist als eine klinische Prüfung für Volkskrankheiten mit vielen Tausend Betroffenen. Arzneimittel werden in der Europäischen Union nur dann zugelassen, wenn ihr Nutzen-Risiko-Profil positiv ist, wenn also der für den Patienten zu belegende Nutzen die möglichen Risiken, die von der Anwendung des Arzneimittels ausgehen, überwiegt.

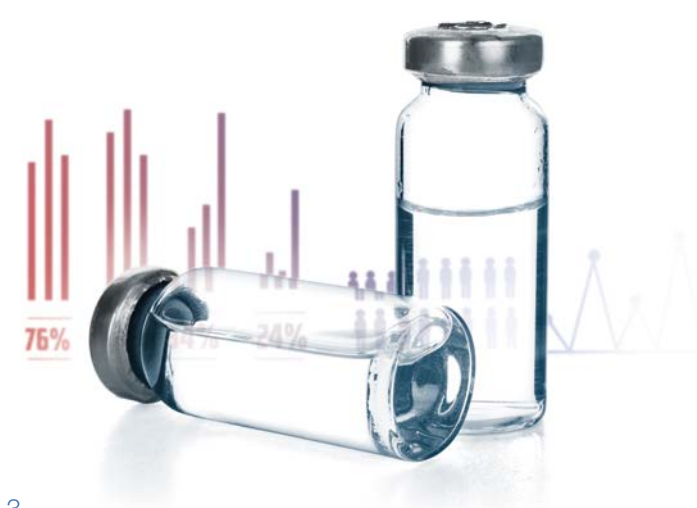
Das gilt uneingeschränkt auch für Orphan Drugs.

2. Orphan Drugs von Zwangsabschlägen und Festbetragsregelungen ausnehmen

Zwangsabschläge und Diskussionen zu Festbeträgen für Orphan Drugs oder ähnliche Eingriffe in den Markt gefährden nicht nur die Versorgung der Patienten, sondern auch innovative Ansätze von Pharma- und Biotechunternehmen, die auf diesem Feld tätig sind. Solche nationalen Regelungen stellen die Versorgung der Patienten in Deutschland mit innovativen Orphan Drugs in Frage, nehmen den Pharma- und Biotechunternehmen in Deutschland die Möglichkeit, sich auch zukünftig auf diesem Gebiet zu engagieren und benachteiligen sie gegenüber Unternehmen in anderen EU-Mitgliedsstaaten.

Die Erhebung eines Zwangsabschlags auf Orphan Drugs in Deutschland steht – unabhängig von dessen Höhe – in deutlichem Widerspruch zur Intention des europäischen Gesetzgebers, Anreize für die Entwicklung von Orphan Drugs zu schaffen. Mit einer solchen Regelung wird die wirtschaftliche Privilegierung dieser Arzneimittelgruppe durch das Europäische Gemeinschaftsrecht teilweise zunichte gemacht.

Ebenso sind Festbetragsregelungen bei Orphan Drugs verfehlt. Diese Art von Arzneimitteln kann per se nicht in den Anwendungsbereich der Festbetragsregelung fallen, da eine zehnjährige Marktexklusivität gewährleistet ist. Selbst nach Ablauf dieser Marktexklusivität werden sich zur Behandlung eines seltenen Leidens kaum mehrere Arzneimittel finden, die für die Behandlung derselben Krankheit zugelassen sind. Sollten mehrere Präparate vorhanden sein, so unterscheiden sich diese in der Regel durch unterschiedliche therapeutische Ansätze, sind daher nicht austauschbar und für die Bildung von Festbetragsgruppen nicht geeignet.





3. Planungssicherheit und wirtschaftliche Anreize schaffen

Aufgrund der kleinen Märkte von Orphan Drugs ist es unter regulären Bedingungen für Unternehmen wenig attraktiv, Arzneimittel für seltene Erkrankungen zu entwickeln, da eine Amortisierung der Forschungs- und Entwicklungsausgaben kaum erreicht werden kann. Vor diesem Hintergrund bedarf es für die Entwicklung von Orphan Drugs besonderer Erleichterungen und steuerlicher Anreize.

Wegen der langen Entwicklungsprozesse ist es für pharmazeutische Unternehmen von größter Bedeutung, sich in einem klaren politischen Umfeld mit verlässlichen Rahmenbedingungen zu bewegen, da eine wirtschaftlich zuverlässige Planung sonst nicht möglich ist.

Die Wirtschaftlichkeit einer Arzneimittelentwicklung steht in direktem Bezug zur Marktgröße. Die Investitionen, die für die Entwicklung eines Arzneimittels – welche sich über einen Zeitraum von bis zu 15 Jahren erstrecken kann – aufgebracht werden müssen, belaufen sich auf mehrere Hun-

dert Millionen Euro. Diese Investitionen können normalerweise am Markt nur dann wieder erwirtschaftet werden, wenn die Arzneimittel für eine große Anzahl von Patienten bestimmt sind, wie dies z. B. bei Volkskrankheiten der Fall ist.

In vielen Mitgliedstaaten der EU sind bereits nationale Anreizsysteme für die Entwicklung von Orphan Drugs gewährt worden. Auch in Deutschland sollten solche Instrumente zur Verfügung stehen. Steuerliche Anreize für Forschungs- und Entwicklungsaktivitäten einerseits sowie die Reduzierung der Gebühren für die Beantragung von klinischen Prüfungen für ein als Orphan Drug ausgewiesenes Arzneimittel bei den deutschen Bundesoberbehörden andererseits stellen beispielsweise geeignete Instrumente dafür dar.

Solche Anreize müssen gerade kleinen und mittleren Unternehmen (KMU), insbesondere aus dem Bereich der Biotechnologie, zu Gute kommen. Diese engagieren sich bevorzugt in der Erforschung und Entwicklung von Orphan Drugs.

BPI Bundesverband der
Pharmazeutischen Industrie e.V.

Bundesverband der Pharmazeutischen
Industrie (BPI) e.V.

Friedrichstraße 148, 10117 Berlin

Tel.: (0 30) 2 79 09 - 0

Fax: (0 30) 2 79 09 - 3 61

E-Mail: info@bpi.de

Internet: www.bpi.de