

# BIO DEUTSCHLAND

## **Positionspapier der BIO Deutschland**

für einen

**deutschen Ordnungsrahmen für Arzneimittel für seltene Erkrankungen**

Stand: 19. Mai 2010

## **1. Zusammenfassung**

Trotz großer Fortschritte in der Medizin besteht nach wie vor ein großer Bedarf an medizinischen Innovationen, denn bis heute können noch immer nur ein Drittel der rund 30.000 bekannten Erkrankungen ursächlich behandelt werden. Bei zwei Dritteln können Arzt oder Ärztin nur die Symptome behandeln oder im schlimmsten Fall: gar nichts unternehmen. Eine besondere Herausforderung für Ärzte und pharmazeutische Hersteller besteht im Bereich der sogenannten Arzneimittel für seltene Erkrankungen (Orphan Drugs). Durch die Verordnung (EG) Nr. 141/2000 (VO 141/2000/EG) über Arzneimittel für seltene Leiden fördert die EU gezielt die Forschung und Entwicklung von Orphan Drugs. Mehr als vier Millionen Menschen leiden in Deutschland an einer seltenen Krankheit. Selten ist einer Erkrankung, wenn nicht mehr als fünf von zehntausend Personen davon betroffen sind. Gerade kleine und mittlere Unternehmen in der Biotechnologie engagieren sich stark in diesem Bereich und entwickeln oft Nischenprodukte für die Gesundheitsversorgung. Die erreichten Fortschritte bei diesen Medikamenten dürfen durch restriktive Maßnahmen im Arzneimittelsektor nicht wieder aufgehoben werden.

Vertragsverhandlungen mit ca. 160 Kassen oder mit einem Nachfragemonopolisten GKV-Spitzenverband und sofortige obligate „Nutzen-Schnell-und-Früh-Bewertungen“ drohen, mittelständische Biotechnologieunternehmen zu überfordern. Zumindest bedeuten sie eine erhebliche Markteintrittshürde für kleine und mittelständische Biotechnologieunternehmen. Derartige Maßnahmen erhöhen das Risiko der Forschung und verringern den Forschungsanreiz.

**Daher schlagen wir folgenden Ordnungsrahmen für Arzneimittel für seltene Erkrankungen in Deutschland vor:**

- **Diese Arzneimittel sollten bis zu einem bestimmten „Budget Impact“, gemessen als Anteil an den GKV-Gesamt-Arzneimittelausgaben, von allen erstattungsrechtlichen Marktregulierungen frei gehalten werden. Dies gilt insbesondere für den Herstellerrabatt, die geplante Schnellbewertung und die Verhandlungslösung. Aufgrund der Größe des deutschen GKV-Marktes halten wir einen Wert von 0,25 % für praktikabel und angemessen.**
- **Wird der Wert von 0,25 % überschritten, so unterliegen auch Arzneimittel für seltene Erkrankungen den üblichen – bis dahin hoffentlich überarbeiteten – Regulierungen des Pharma-Marktes. Insbesondere gelten dann auch die bis dahin gefundenen Regeln für Verhandlungslösungen zwischen Kassen und pharmazeutischen Unternehmern. Auf jeden Fall und unabhängig vom „Budget Impact“ sind Orphan Drugs jedoch von folgenden Regelungen auszunehmen:**
  - **Eine „Nutzen-Schnell-und-Früh-Bewertung“ ist in keinem Falle notwendig, da zur Erlangung des Orphan-Drug-Status bereits ein Zusatznutzen nachgewiesen werden muss.**
  - **Der Erhöhung des Zwangsrabattes**

# BIO DEUTSCHLAND

- Der Wirtschaftlichkeitsprüfung (es sei denn, diese wird entsprechend dereguliert)
- Der indirekten Verknüpfung der Arzneimittelausgaben mit dem Arztehonorar über den § 84 SGB V.
- Sollte kein Abstand genommen werden von der „Nutzen-Schnell-Früh-Bewertung“, so sollten zumindest die Besonderheiten von Orphan Drugs in der Methodik der Kosten-Nutzen-Bewertung Berücksichtigung finden. Alles andere wäre eine ungerechtfertigte Benachteiligung von Orphan Drugs.

## 2. Einleitung

Die Biotechnologie-Industrie-Organisation (BIO Deutschland) e. V., der Wirtschaftsverband der deutschen Biotechnologiebranche, begrüßt, dass die Bundesregierung die Verfügbarkeit der besten und wirksamsten Arzneimittel für Patientinnen und Patienten verbessern und verlässliche Rahmenbedingungen für Innovationen, die Versorgung der Versicherten und die Sicherung von Arbeitsplätzen schaffen möchte. Die vorgeschlagenen Eckpunkte zur Umsetzung des Koalitionsvertrages sind nur bedingt geeignet, um diese Ziele zu erreichen.

**Gesundheitsausgaben und Sozialprodukt**  
Anteil am Bruttoinlandsprodukt in Prozent

Jahr	Ausgaben für Gesundheit Insg.	Leistungsausgaben der GKV	Ausgaben für Arzneimittel
2008	10,43	6,06	1,73
2007	10,43	5,96	1,72
2006	10,55	5,97	1,71
2005	10,68	6,02	1,76
2004	10,58	5,94	1,61
2003	10,81	6,29	1,70
2002	10,64	6,27	1,67
2001	10,44	6,18	1,62
2000	10,30	6,10	1,53
1999	10,30	6,12	1,52
1998	10,23	6,11	1,52
1997	10,23	6,18	1,47
1996	10,39	6,44	1,48
1995	10,09	6,33	1,43
1994	9,79	6,24	1,41
1993	9,58	6,04	1,41
1992	9,57	6,20	1,54

2008: vorläufige Schätzung  
Quelle: Statistisches Bundesamt, vfa

Medizinische Innovationen stehen unter dem Generalverdacht grundsätzlich unkontrollierbare, nicht abschätzbare Kostenausweitungen nach sich zu ziehen. Dieses liegt zum einen an dem üblicherweise höheren Preis neuer Produkte im Verhältnis zur bisherigen Standardtherapie, zum anderen aber auch an einer kaum kalkulierbaren Mengenausweitung, beispielsweise bedingt durch eine breitere Indikationsstellung, aber auch die höhere Akzeptanz einer Therapie wegen des verbesserten medizinischen Potenzials. Innovationen sind jedoch kein Kostentreiber in der Gesetzlichen Krankenversicherung (GKV). Der Anteil der Ausgaben der GKV liegt seit 17 Jahren bei konstant rund 6,0 % des Bruttoinlandsproduktes (siehe Tabelle).

Trotz großer Fortschritte in der Medizin besteht nach wie vor ein großer Bedarf an medizinischen Innovationen, denn bis heute können noch immer nur ein Drittel der rund 30.000 bekannten Erkrankungen ursächlich behandelt werden. Bei zwei Dritteln können Ärzte nur die Symptome behandeln oder im schlimmsten Fall gar nichts unternehmen. Eine besondere Herausforderung für Ärzte und pharmazeutische Hersteller besteht im Bereich der Orphan Drugs. Durch die Verordnung (EG) Nr. 141/2000 (VO 141/2000/EG) über Arzneimittel für seltene Leiden fördert die EU gezielt die Forschung und Entwicklung von Medikamenten für seltene Erkrankungen. Mehr als vier Millionen Menschen leiden in Deutschland an einer seltenen Krankheit. Selten ist eine Erkrankung, wenn nicht mehr als fünf von zehntausend Personen davon betroffen sind. Gerade kleine und mittlere Unternehmen in der Biotechnologie engagieren sich stark in diesem Bereich und entwickeln oft Nischenprodukte für die Gesundheitsversorgung. Die seit 2000 durch die EU-Förderung erreichten Fortschritte bei diesen Medikamenten dürfen durch restriktive Maßnahmen im Arzneimittelsektor nicht wieder aufgehoben werden.

# BIO DEUTSCHLAND

Bei der Einführung neuer Regulierungen kommt es daher auf die Ausgewogenheit der Mittel an, um weiterhin die richtigen Anreize zu schaffen. Werden dynamische Anreize für Forschung nach echten Innovationen verringert, indem diese Anstrengungen weniger prämiert werden, besteht die Gefahr, dass die beeindruckenden Fördererfolge, die die Lebenssituation der Patientinnen und Patienten im Allgemeinen und mit seltenen Erkrankungen im Besonderen in vielen Fällen erheblich verbessern konnten, wieder zunichte gemacht werden.

### **3. Ein neuer Ordnungsrahmen für Arzneimittel für seltene Erkrankungen in Deutschland**

*„Patienten mit seltenen Erkrankungen sind die Waisen des Gesundheitswesens: Ihre Erkrankung wird häufig nicht diagnostiziert, es gibt keine Therapiemöglichkeiten und keine Forschung. Daher haben sie keinen Grund zur Hoffnung.“*

Eurordis (2005). European Conference on Rare Diseases. Luxemburg 2005

BIO Deutschland plädiert für eine Gesundheitspolitik im Arzneimittelbereich, die ihre Ziele aus einer gesamtgesellschaftlichen Perspektive ableitet. Es sollte das Ziel sein, mit den eingesetzten Mitteln (Kosten) einen maximalen gesellschaftlichen Nutzen zu erreichen oder ein definiertes Gesundheitsziel mit möglichst wenig Mitteln zu erreichen. Die Nutzen- und die Kostenseite sollten immer gemeinsam betrachtet werden.

Mehr als vier Millionen Menschen leiden in Deutschland an einer seltenen Erkrankung. Von den etwa 30.000 bekannten Krankheiten fallen bis zu 8.000 unter diesen Begriff. Hoffnung für die Betroffenen und ihre Angehörigen ergibt sich durch die deutliche Zunahme von Arzneimittelentwicklungen für diese Krankheitsbilder, weshalb obiges Zitat heute glücklicherweise nicht mehr für alle Patienten mit seltenen Erkrankungen gilt. Seit der Einführung des Orphan-Drug-Status durch die VO 141/2000/EG wurden 59 Arzneimittel für seltene Erkrankungen zugelassen. Vergleichbare Erfolge erzielen deutsche Biotechnologieunternehmen mit weiteren Nischenmedikamenten, die zwar nicht unter die VO 141/200/EG fallen, aber ebenso für einen kleinen Markt gefertigt werden und einen sehr kleinen Effekt auf das Arzneimittelbudget haben. Die Forschung der Biotechnologieunternehmen ist immens wichtig, denn sie gibt neue Hoffnung, dass für immer mehr seltene Erkrankungen endlich Therapieoptionen zur Verfügung stehen. Es muss nun darauf geachtet werden, dass die Fortschritte, die durch die Einführung des Orphan-Drug-Status und durch staatliche Fördergelder erzielt wurden, durch eine Erschwerung der Erstattung bzw. der Durchsetzung niedrigerer Preise nicht wieder aufgehoben werden. Das gleiche gilt für die derzeit geplanten deutschen und europäischen Initiativen zur Verbesserung der Situation von Menschen mit seltenen Erkrankungen.

**Vor diesem Hintergrund schlagen wir folgenden Ordnungsrahmen für Arzneimittel für seltene Erkrankungen in Deutschland vor:**

- **Diese Arzneimittel sollten bis zu einem bestimmten „Budget Impact“, gemessen als Anteil an den GKV-Gesamt-Arzneimittelausgaben, von allen erstattungsrechtlichen Marktregulierungen**

# BIO DEUTSCHLAND

**frei gehalten werden. Dies gilt insbesondere für den Herstellerrabatt, die geplante Schnellbewertung und die Verhandlungslösung. Aufgrund der Größe des deutschen GKV-Marktes halten wir einen Wert von 0,25 % für praktikabel und angemessen.**

Die erreichten Fortschritte bei den Arzneimitteln für seltene Erkrankungen dürfen durch restriktive Maßnahmen im Arzneimittelsektor nicht wieder aufgehoben werden. Vertragsverhandlungen mit derzeit etwa 160 Kassen oder mit einem Nachfragemonopolisten GKV-Spitzenverband und sofortige obligate Nutzen-Schnell-und-Früh-Bewertungen drohen, mittelständische Biotechnologieunternehmen zu überfordern. Zumindest bedeuten sie eine erhebliche Markteintrittshürde für kleine und mittelständische Biotechnologiefirmen. Derartige Maßnahmen erhöhen das Risiko der Forschung und verringern den Forschungsanreiz. Ferner ist bei Nischenmedikamenten die Gewinnung von Evidenz meist schwieriger aber auf jeden Fall kostenintensiver. Unter anderem fehlt es oft Grundlagenwissen zur Erkrankung, häufig ist es viel schwieriger eine ausreichende Anzahl von Probanden für klinische Studien zu finden. Es kann daher den Fortschritt hemmen, wenn diese Präparate sofort den gleichen Anforderungen an die Evidenz unterworfen werden, wie Medikamente in Massenmärkten. Entsprechend werden die Besonderheiten von Orphan Drugs im Zulassungsverfahren berücksichtigt. Es liegt auf der Hand, dass keine klinische Studie mit mehreren Hundert Probanden durchgeführt werden kann, wenn in ganz Europa überhaupt nur hundert oder weniger Patienten an der Krankheit leiden. Eine gleiche Berücksichtigung im Ordnungssystem der gesetzlichen Krankenkassen ist konsequent.

- **Wird der Wert von 0,25 % überschritten, so unterliegen auch die Arzneimittel für seltene Erkrankungen den üblichen – bis dahin hoffentlich überarbeiteten – Regulierungsmechanismen des Pharma-Marktes. Insbesondere gelten dann auch die bis dahin gefundenen Regeln für Verhandlungslösungen zwischen Kassen und pharmazeutischen Unternehmern. Auf jeden Fall und unabhängig vom „Budget Impact“ sind Orphan Drugs jedoch von folgenden Regelungen auszunehmen:**
  - Eine „Nutzen-Schnell-und-Früh-Bewertung“ ist in keinen Falle notwendig, da zur Erlangung des Orphan-Drug-Status bereits ein Zusatznutzen nachgewiesen werden muss
  - Der Erhöhung des Zwangsrabattes
  - Der Wirtschaftlichkeitsprüfung (es sei denn diese wird entsprechend dereguliert)
  - Der indirekten Verknüpfung der Arzneimittelausgaben mit dem Ärztehonorar über den § 84 SGB V
- **Sollte kein Abstand genommen werden von der „Nutzen-Schnell-Früh-Bewertung“, so sollten zumindest die Besonderheiten von Orphan Drugs auch in Deutschland in der Methodik der Kosten-Nutzen-Bewertung Berücksichtigung finden. Alles andere wäre eine ungerechtfertigte Benachteiligung von Orphan Drugs.**

Diese Regelung erleichtert den Markteintritt und verhindert eine inkonsistente Politik in dem Sinne, dass zunächst die Erforschung von Orphan Drugs u. a. durch staatliche Fördergelder, Programme und Strate-

# BIO DEUTSCHLAND

gien gefördert wird, um dann den Markteintritt und die Refinanzierung der Forschungskosten zu erschweren. Sie ist auch unbürokratisch, weil aufwendige Instrumente wie Kosten-Nutzen-Bewertungen und Verhandlungen erst ab einem bestimmten Transaktionsvolumen effizient sind.

## **4. Hintergrund**

Viele Jahre wurden kaum Arzneimittel für seltene Erkrankungen entwickelt, da sich dies für pharmazeutische Unternehmen nicht lohnte. Um Menschen mit seltenen Erkrankungen den selben Zugang zu Diagnostik und Therapie zu ermöglichen wie Menschen mit sogenannten „Volkskrankheiten“, wurde vor zehn Jahren von der EU die VO 141/2000/EG verabschiedet, die vor allem darauf ausgerichtet ist, den Unternehmen die Entwicklung von Arzneimittel für seltene Erkrankungen durch finanzielle Anreize und Förderprojekte zu erleichtern. Gerade für kleine und mittlere Unternehmen in der Biotechnologie, die sich in diesem Bereich stark engagieren, sind ohne gezielte Förderung die Chancen auf Refinanzierung der Entwicklungskosten und die zusätzliche Erwirtschaftung von Mitteln zur Weiterentwicklung des Produktes und zur Entwicklung neuer Produkte kaum möglich. Am 9. Juni 2009 haben die EU Gesundheitsminister ferner eine Empfehlung des Ministerrats übernommen, die die Mitgliedsstaaten aufruft, einen Plan und Strategien zur Behandlung seltener Erkrankungen zu entwickeln und zu implementieren. Die Bundesregierung hat daraufhin ein Nationales Aktionsbündnis für Menschen mit Seltene Erkrankungen (NAMSE) implementiert. Dies soll einen entsprechenden Nationalplan für eine Verbesserung der Versorgungssituation erarbeiten. Auf europäischer und deutscher Ebene gibt es darüber hinaus eine Reihe von Förderprojekten, um die Gründung von Biotechnologieunternehmen zu erleichtern und Forschungsprojekte von kleinen und mittelständischen Unternehmen zu ermöglichen. Kamen vor 2000 kaum Arzneimittel für seltene Erkrankungen auf den Markt, so haben die Förderansätze dazu geführt, dass bis zum heutigen Tag 59 Arzneimittel für seltene Erkrankungen zugelassen wurden. Allerdings gibt es nach wie vor sehr viel Forschungsbedarf. Die Förderung wirkt, das Ziel ist aber noch lange nicht erreicht.

## **5. Erhöhung des Herstellerabschlages auf 16 %**

Die geplante Anhebung des Zwangsrabattes von 6 % auf 16 % würde eine enorme finanzielle Herausforderung für diese Unternehmen bedeuten. Es besteht die Gefahr, dass die beeindruckenden Fördererfolge, die die Lebenssituation der Patientinnen und Patienten mit seltenen Erkrankungen in vielen Fällen erheblich verbessern konnten, so wieder zunichte gemacht werden. Es ist aus unserer Sicht keine konsistente Politik, wenn man zunächst die Erforschung und Entwicklung von Nischenmedikamenten fördert, um ihnen dann wiederum die Refinanzierung der hochriskanten und kapitalintensiven Investitionen zu erschweren. Eine deutliche Verlangsamung und Abnahme in der Entwicklung neuer Produkte wird die Folge sein. Arzneimittel für seltene Erkrankungen sollten daher von der Erhöhung des Herstellerrabattes ausgenommen werden.

## **6. Kosten und Nutzen Dossier**

Die Einreichung eines Nutzendossiers mit der Zulassung, wie im Eckpunktepapier der Bundesregierung geplant, stellt für kleine und mittelständische Unternehmen eine nennenswerte Markteintrittshürde dar.

# BIO DEUTSCHLAND

Die geplante Schnellbewertung des Nutzens erhöht das Forschungsrisiko für Unternehmen. Insbesondere für Arzneimittel für seltene Erkrankungen ist eine weitere Nutzenbewertung jedoch gar nicht notwendig, da der Nutznachweis bei Arzneimittel für seltene Erkrankungen die Voraussetzung dafür ist, dass sie in den Genuss der Förderanreize kommen:

Gemäß der VO 141/2000/EG wird ein Arzneimittel nur dann als Arzneimittel für seltene Erkrankungen ausgewiesen, wenn der Antragsteller nachweisen kann, dass in der Gemeinschaft noch keine zufriedenstellende Methode für die Diagnose, Verhütung oder Behandlung des betreffenden Leidens zugelassen wurde. Falls noch keine Therapie besteht, ist die Bewertung eines Zusatznutzens mangels Vergleichsgrößen selbstverständlich nicht möglich. Die schiere Existenz des Orphan Drug ist bereits ein „Zusatznutzen“ für Patienten, die bisher keine Therapieoption hatten. Ferner erhält das jeweilige Arzneimittel, in den Fällen, in denen eine Therapie bereits besteht, den Orphan-Drug-Status, wenn ein **erheblicher Nutzen** für die Betroffenen nachgewiesen werden kann. Orphan Drugs werden in das Gemeinschaftsregister für Arzneimittel für seltene Leiden eingetragen. Ein als Orphan Drug ausgewiesenes Arzneimittel kann sogar aus dem Gemeinschaftsregister für Arzneimittel für seltene Leiden gestrichen werden, wenn vor Erteilung der Genehmigung für das Inverkehrbringen festgestellt wird, dass die obigen Kriterien in Bezug auf dieses Arzneimittel nicht mehr erfüllt sind. Zudem wird der Zeitraum der Marktexklusivität auf sechs Jahre verkürzt, wenn am Ende des fünften Jahres in Bezug auf das betreffende Arzneimittel feststeht, dass die obigen Kriterien nicht mehr erfüllt sind. Im Gemeinschaftsregister für seltene Leiden aufgenommene Arzneimittel für seltene Erkrankungen haben daher bereits ihren Nutzen bzw. ihren Zusatznutzen belegt. Eine erneute Prüfung ist nicht sinnvoll und würde lediglich einen zusätzlichen Aufwand verursachen. In diesem Zusammenhang ist zudem das Urteil des Bundessozialgerichtes aus dem Jahr 2006 relevant (Verbot der Doppelprüfung – Urteil vom 31.05.2006 - B 6 KA 13/05 R). Um unnötige Fehlanreize und Bürokratiekosten zu vermeiden, schlagen wir daher vor, alle Orphan Drugs, die in das Gemeinschaftsregister für Arzneimittel für seltene Leiden eingetragen sind, von der Einreichung eines Dossiers und der Schnellbewertung freizustellen, unabhängig davon, ob man dem hier vorgeschlagenen „Budget-Impact-Modell“ folgt.

Berlin, den 19. Mai 2010



# BIO DEUTSCHLAND

## **Arbeitsgruppe Gesundheitspolitik, BIO Deutschland e. V.:**

**Dr. Robert Schupp**, Geschäftsführer der Celgene GmbH, leitet die Arbeitsgruppe „Gesundheitspolitik“ mit Vertreterinnen und Vertretern der Unternehmen und Institute Celgene GmbH, Eurofins Medigenomix GmbH, FGK Clinical Research GmbH, Fresenius Biotech GmbH, hameln rds GmbH, Intendis GmbH, Jonesday, MagForce Nanotechnologies AG, MediGene AG, Nycomed GmbH, PricewaterhouseCoopers AG, Revotar Biopharmaceuticals AG, Sandoz International GmbH, TRM Universität Leipzig, ViroLogik GmbH u.a.

**Die Biotechnologie-Industrie-Organisation Deutschland e. V. (BIO Deutschland)** hat sich mit ihren mehr als 250 Mitgliedern – Unternehmen, BioRegionen und Branchen-Dienstleistern – zum Ziel gesetzt, in Deutschland die Entwicklung eines innovativen Wirtschaftszweiges auf Basis der modernen Biowissenschaften zu unterstützen und zu fördern. **Dr. Peter Heinrich** (CEO der MagForce Nanotechnologies AG) ist Vorstandsvorsitzender der BIO Deutschland.

Fördermitglieder der BIO Deutschland sind **berlinbiotechpark GmbH, BusinessWire, Celgene GmbH, CMS Hasche Sigle, Commerzbank AG, Deutsche Bank AG, EBD Group, Ernst & Young AG, KPMG AG, Miltenyi Biotec GmbH, MLawGroup, PricewaterhouseCoopers AG** und **TVM Capital GmbH**.

Weitere Informationen zur Tätigkeit der BIO Deutschland und der Arbeitsgruppen erhalten Sie gerne auf Anfrage bei der Geschäftsstelle des Verbandes oder unter [www.biodeutschland.org](http://www.biodeutschland.org)

BIO Deutschland e. V.  
Tegeler Weg 33 / berlinbiotechpark  
10589 Berlin  
Tel.: 030-345 05 93 30  
Fax: 030-345 05 93 59  
E-Mail: [info@biodeutschland.org](mailto:info@biodeutschland.org)