

Orphan Drugs: Streit um Nachweis des Zusatznutzens

Donnerstag, 11. Februar 2016



dpa

Berlin – Annette Grüters-Kieslich vom [Centrum für seltene Erkrankungen an der Berliner Charité](#) hat eine bessere Zusammenarbeit zwischen der Wissenschaft und den Pharmafirmen gefordert. Dann könnten sie gemeinsam entscheiden, in welchen Bereichen die Entwicklung neuer Arzneimittel sinnvoll sei. „Wir brauchen Strukturen, damit die Wissenschaft und die Pharmahersteller künftig besser zusammenarbeiten können“, forderte sie auf einer Veranstaltung des Bundesverbandes der Pharmazeutischen Industrie ([BPI](#)) zum Thema Orphan Drugs.

In diesem Rahmen „sollten wir uns künftig besser darüber verständigen, was man auch lassen kann“. Es gebe viele Therapien, die im deutschen Gesundheitssystem bezahlt würden, ohne einen Nutzen zu haben. „Wenn wir in diesen Bereichen Geld einsparen, könnten wir es in die Bereiche investieren, in denen neue Therapieformen einen Nutzen haben“, sagte Grüters-Kieslich. Im Bereich der seltenen Erkrankungen beispielsweise gebe es bei weitem nicht genug Arzneimittel.



SPD will Gesetzesänderung

Im Rahmen der anstehenden Umgestaltung der frühen Nutzenbewertung neuer Arzneimittel gemäß Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz (AMNOG) hatte die [gesundheitspolitische Sprecherin der SPD-Fraktion, Hilde Mattheis, vor kurzem eine](#) mögliche Gesetzesänderung ins Spiel gebracht, derzufolge auch Arzneimittel gegen

seltene Erkrankungen ihren Zusatznutzen belegen müssen. Bislang gilt der Zusatznutzen dieser Orphan Drugs bereits mit der Zulassung als belegt, sofern ihr Umsatz 50 Millionen Euro pro Jahr nicht übersteigt.

Der [GKV-Spitzenverband](#) habe vor kurzem nachgewiesen, dass Orphan Drugs häufig nur einen geringen oder keinen Zusatznutzen aufweisen, hatte SPD-Politikerin Mattheis weiter erklärt. Dieser Befund müsse bei der anstehenden Novelle des Arzneimittelgesetzes genutzt werden.

Der stellvertretende Hauptgeschäftsführer des BPI, Norbert Gerbsch, sprach sich gegen eine entsprechende Gesetzesänderung aus: „Orphan Drugs durchlaufen schon im Rahmen ihrer Zulassung in Europa eine Nutzen-Risiko-Bewertung. Wir verstehen nicht, warum das im Rahmen des AMNOG noch einmal überprüft werden soll.“

Ludwig: Auch bei Orphan Drugs muss der Zusatznutzen untersucht werden

Auch der Vorsitzende der Arzneimittelkommission der deutschen Ärzteschaft ([AkdÄ](#)), Wolf-Dieter Ludwig, hat sich wiederholt dafür ausgesprochen, den Zusatznutzen von Orphan Drugs ebenfalls zu untersuchen. Denn auch unter diesen befänden sich Arzneimittel, deren Zusatznutzen gegenüber verfügbaren Vergleichstherapien nicht nachgewiesen sei.

Ludwig kritisiert zudem die sogenannte Orphanisierung von Krankheiten, die gar nicht selten sind. Seine Kritik: Pharmahersteller bringen mit Hilfe von Biomarkern Onkologika für kleine Patientenpopulationen als Orphan Drugs auf den Markt, die tatsächlich gegen relativ häufig vorkommende Tumore wirken. Auf diese Weise habe sich der Umsatz der Hersteller in den vergangenen Jahren deutlich erhöht. Mittlerweile seien in den USA mehr als 400 und in Europa etwa 100 Orphan Drugs zugelassen.

Gerbsch verteidigte diese Praxis: „Manche Krebserkrankungen sind so selten, dass es sachgerecht ist, die entsprechenden Arzneimittel als Orphan Drugs auszuweisen.“ Und auch, wenn der Hersteller die Indikation für dieses Medikament später ändere, müsse er dennoch nachweisen, dass es auch in der neuen Indikation ausschließlich gegen eine seltene Erkrankung wirke. Könne er dies nicht nachweisen, könne es sein, dass das Medikament nicht als Orphan Drug zugelassen wird.

Anforderungen an Orphan Drugs werden immer weiter heruntergeschraubt

Ludwig stört daran allerdings noch etwas anderes. „Orphan Drugs kommen meist nach beschleunigten Verfahren auf den Markt, und in den klinischen Studien werden deutlich weniger Patienten untersucht als bei Arzneimitteln für andere Indikationen“, sagte er vor kurzem dem Deutschen Ärzteblatt. „Dadurch werden aber die Anforderungen an die Kenntnisse zur Wirksamkeit und Sicherheit dieser Medikamente immer weiter heruntergeschraubt.“ Auch deshalb müssten die Anforderungen an die Zulassung von Orphan Drugs erhöht werden.

© [fos/aerzteblatt.de](#)