



Berlin
13./14. Oktober 2010

Nationalkonferenz zu Seltenen Erkrankungen

Welche Rahmenbedingungen braucht die Forschung der pharmazeutischen Industrie – was soll ein Nationalplan verbessern?

Dr. Christian Fritsch, Manager New Products, Novartis Pharma GmbH



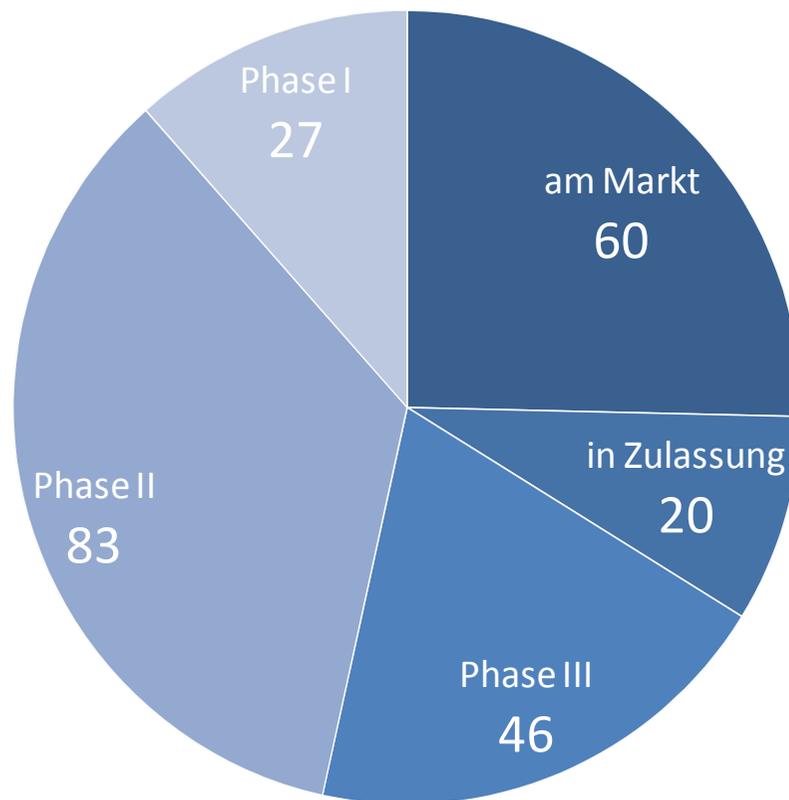
Orphan Drug-Zuerkennungen und Orphan Drug-Zulassungen

Status der Orphan Drug-Zuerkennungen

	2000-2010	davon bis 09/ 2010
Eingereichte Anträge	1.185	125
Positive COMP-Empfehlung	817	90
Negative COMP-Empfehlung	17	3
Zuerkennung des Orphan Status durch die Kommission	768	69
Zurückgezogene Zuerkennungsanträge	286	37
EU-Zulassungen durch die Kommission seit 2000	62	4

Quelle: EMA-Website, www.ema.europa.eu, Stand 09.09.2010

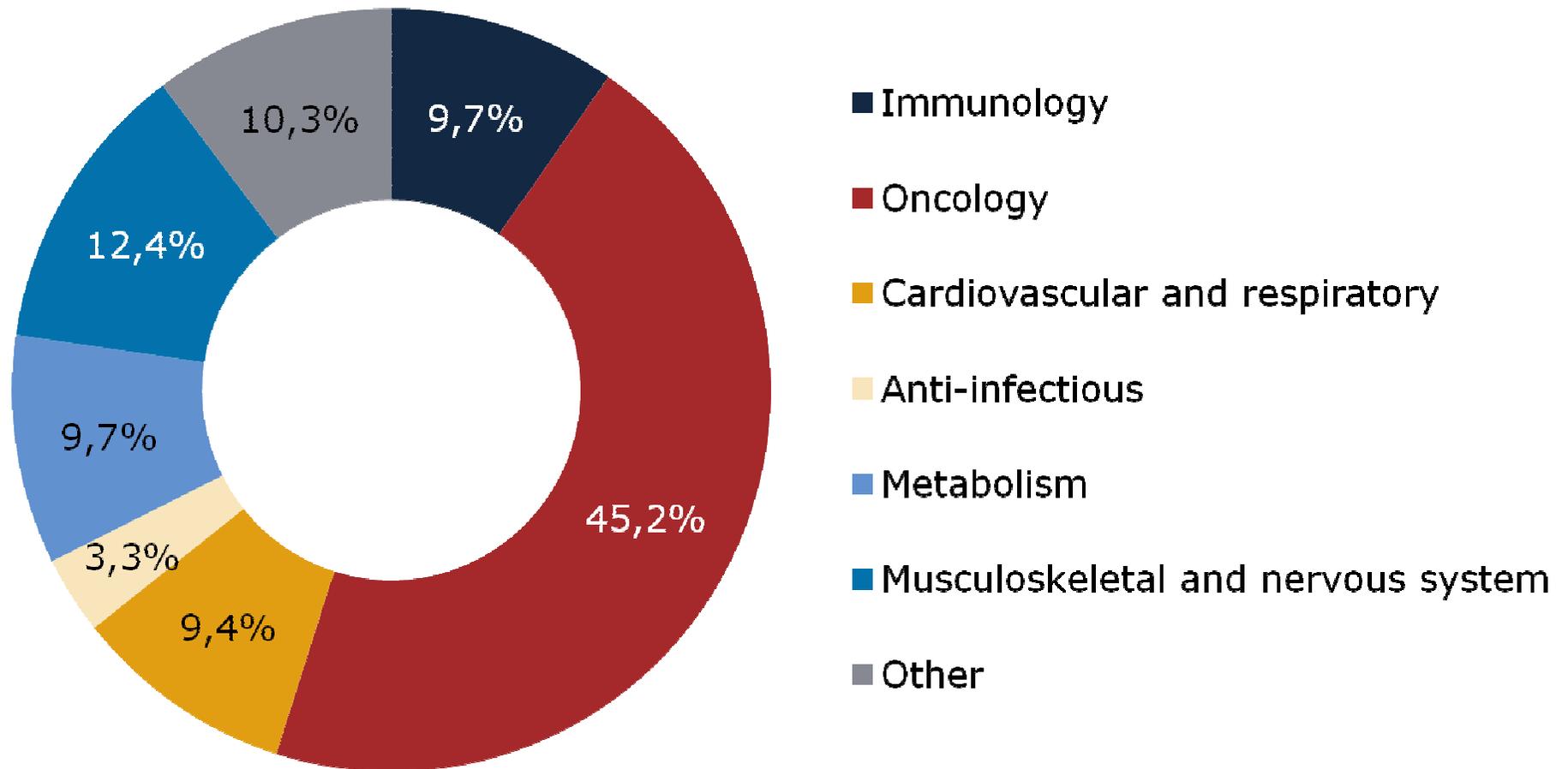
Die meisten EU-Orphan Drug Entwicklungssubstanzen befinden sich in klinischer Phase II



In klinischer Entwicklung gesamt : 177

Quelle: Zusammenfassung diverser internet-basierter Daten-Quellen, Stand September 2010

Orphan Drug-Zuerkennungen nach Therapiegebieten (COMP Empfehlungen)



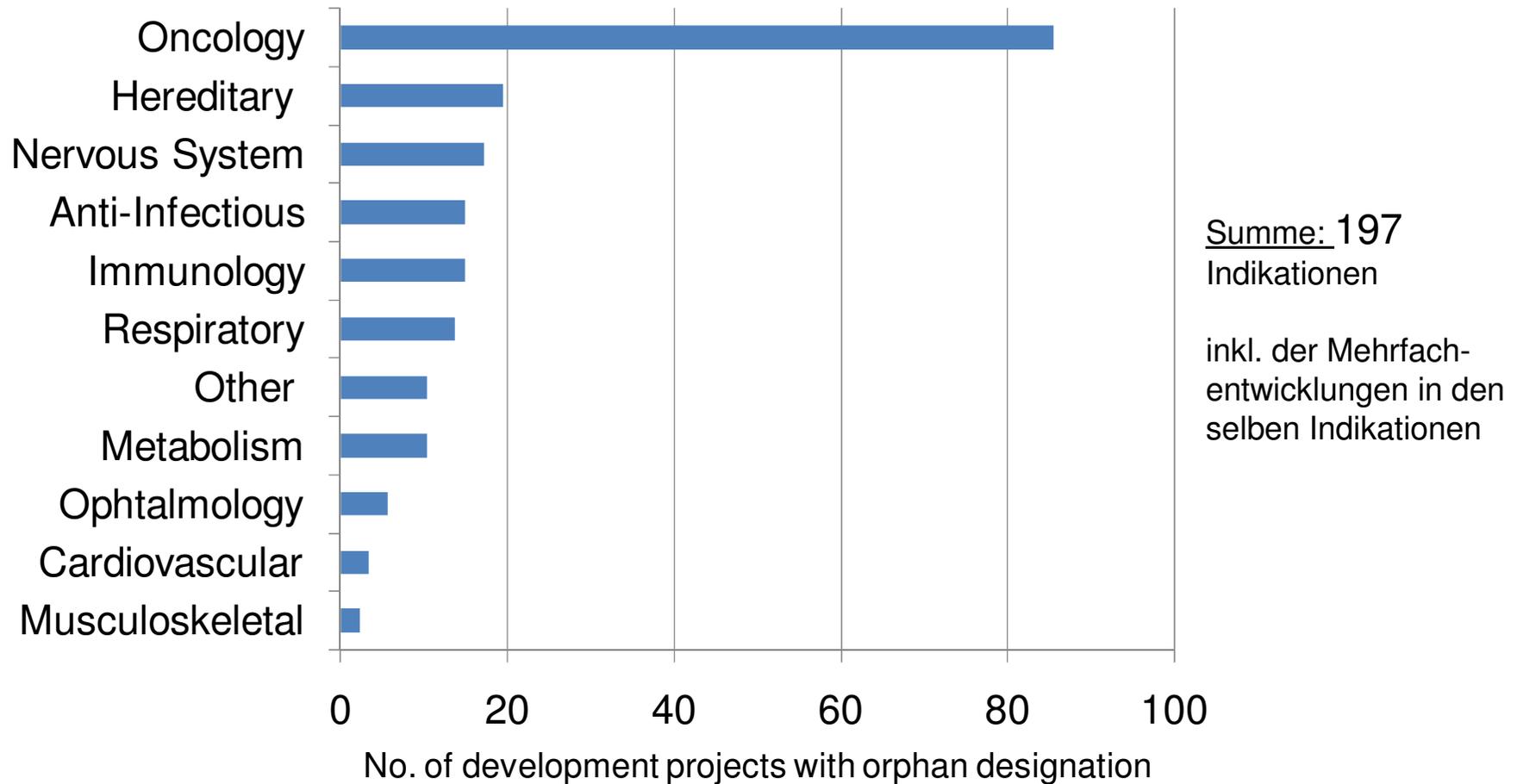
Quelle: „Orphan medicines in numbers, The success of ten years of orphan legislation“, EMA/279601/2010

Seite 5

© vfa | Nationalkonferenz Seltene Erkrankungen | Dr. C. Fritsch

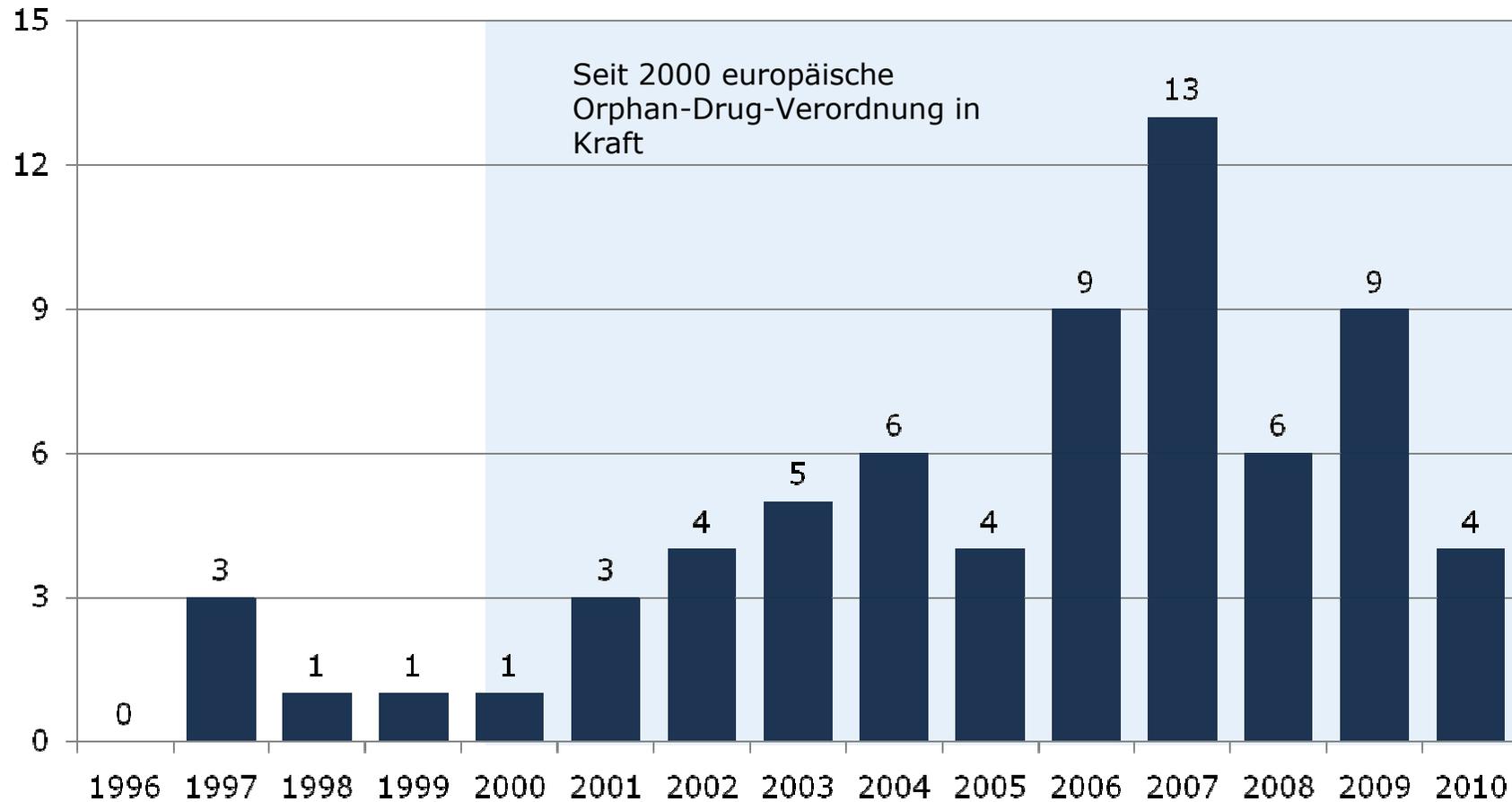


Gegenwärtige Orphan Drug-Entwicklungen betreffen hauptsächlich onkologische Indikationen (44%)



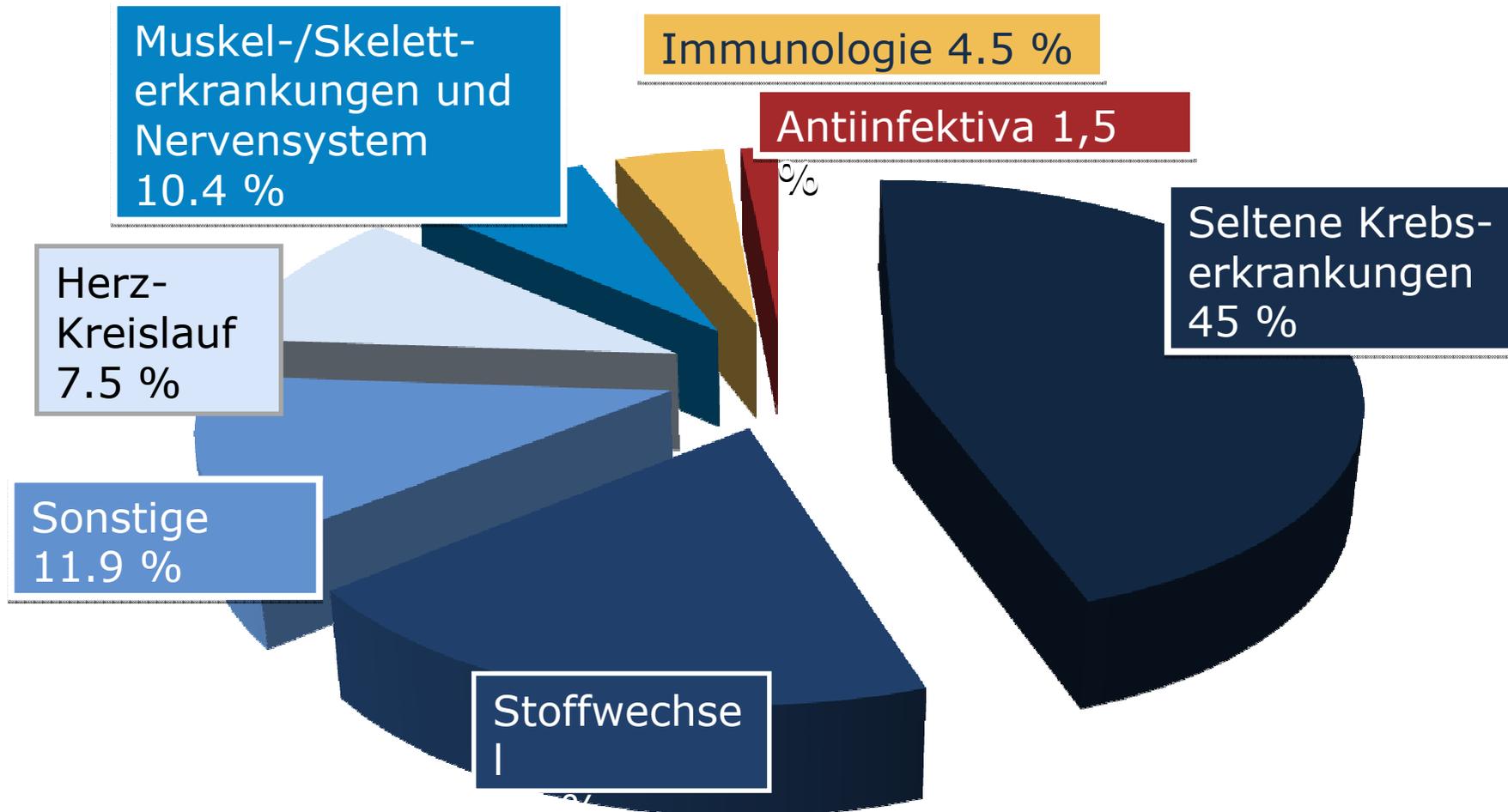
Quelle: Zusammenfassung diverser internet-basierter Daten-Quellen, Stand September 2010

Zulassungen für Medikamente gegen seltene Krankheiten in der EU



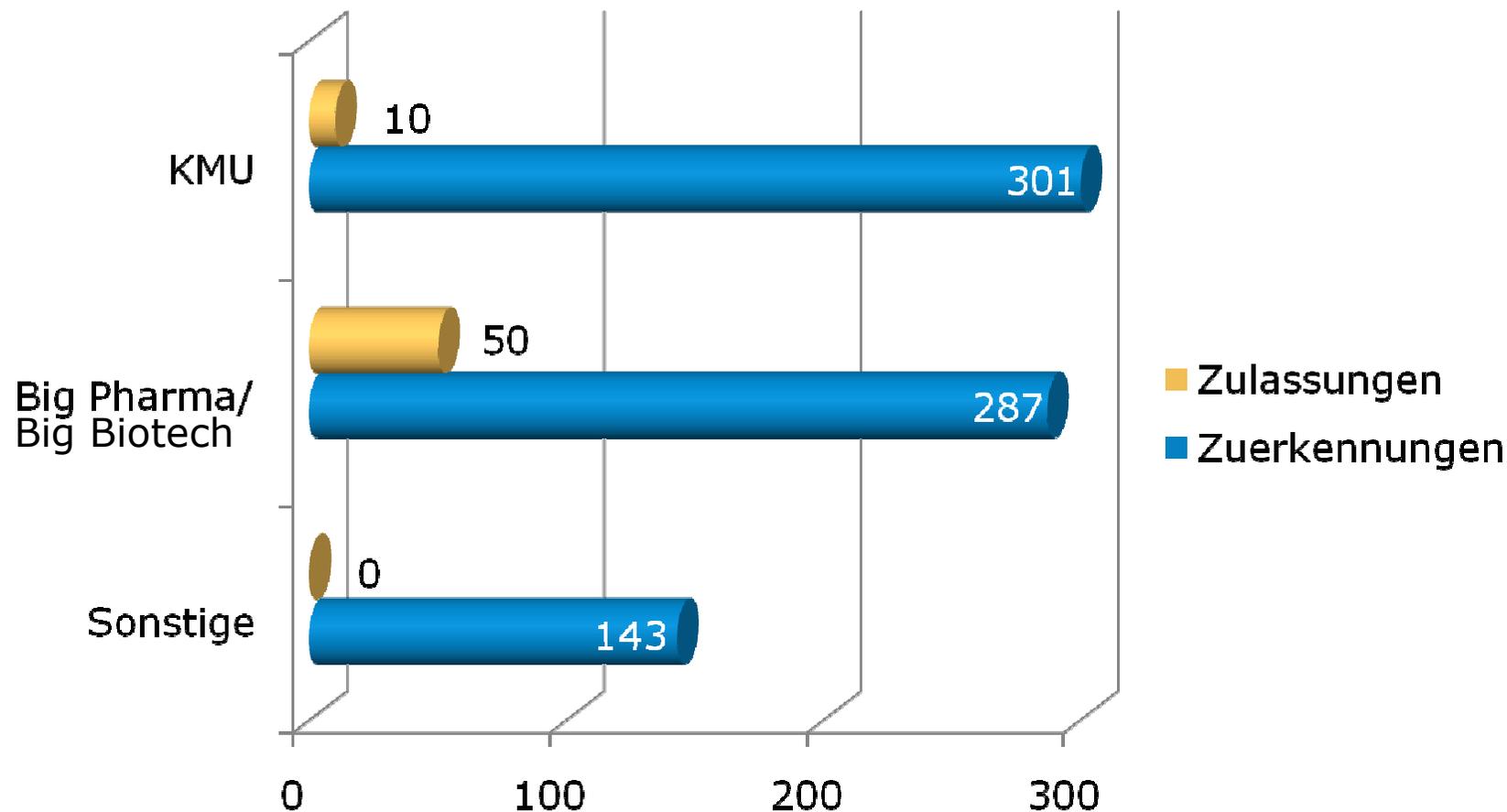
Quelle: vfa, September 2010

Orphan Zulassungen in der EU: 57 Wirkstoffe gegen 67 Erkrankungen



Quelle: vfa, Stand September 2010

Wer entwickelt Orphan Drugs und bringt sie zur Zulassung?



Quelle: Diplomarbeit C. Haufe „Der EU-Rahmen zur Förderung von Orphan Drugs: Kritische Analyse und Ausblick“
KMU-Definition der EU – s. http://ec.europa.eu/enterprise/policies/sme/files/sme_definition/sme_user_guide_de.pdf

Seite 9

F&E von Orphan Drugs

Herausforderungen und Lösungsansätze

Welches Umfeld ist bei der Entwicklung von neuen Medikamenten zu beachten ?

Vorhandenes medizinisches Umfeld	Forschung	Klinische Studien	Zulassung und Markteintritt
Bedarf nach (neuen) Therapien	Wissenschaftliche Hürden	Patienten	Gesundheitswesen
	Strukturelle Gegebenheiten	Ärzteschaft (Prüfer)	Politik
	Translation	Behörden & Regularien	Behörden & Regularien
			Ärzteschaft (behandelnde Ärzte)

=> Besonderheiten bei den Seltenen Erkrankungen (SE)

Bisher bei den Orphan Drugs Erreichtes

- Orphan Drug-**Verordnung** seit 2000
- **Etablierung des Orphan-Status** (EMA / FDA) und einheitliches Antragsformular von EMA und FDA
- **Harmonisierung der Verpflichtungen nach Zuerkennung:** einheitlicher jährlicher Fortschrittsbericht bei EMA und FDA möglich
- **EMA-Leitlinie** für Studien mit kleinen Patientenpopulationen
- **Beschleunigtes Zulassungsverfahren**
- Datenbank **Orphanet** – europäisches Informationssystem für SE
- Viele **Patientenorganisationen**
- Erkenntnisse aus der **Genomforschung**
- **Einige** weltweite **Patientenregister**
- **Steigende Zahlen:** Firmen mit Orphan Drug-Aktivitäten und Orphan Drug-Projekte

Medizinisches Umfeld

Herausforderungen



- Sehr kleine Patientenzahlen (vage Epidemiologie)
- Wenige Patienten und Experten sind geographisch weit verteilt
- Kaum Gemeinsamkeiten zwischen den SE (Heterogenität)
- Häufig keine etablierte interdisziplinäre Zusammenarbeit
- Häufig noch keine gesicherten Indikatoren für Therapieerfolg
- Datenbanken, Register und Materialbanken sind oft klein, lokal und nicht allgemein zugänglich oder standardisiert
- Nur 250 von ca. 6000 SE haben bisher einen ICD-10-Code

Medizinisches Umfeld

Lösungsansätze

- Förderung der **Ausbildung** von Experten
- Spezielle **Förderung** von nationalen und internationalen Netzwerken sowie der interdisziplinären Zusammenarbeit
- Deutliche **Erhöhung der ICD-10-Codierungen**, um SE innerhalb des Gesundheitssystems verfolgbar, auswertbar und bewertbar zu machen

Forschung

Herausforderungen



- Häufiges Fehlen geeigneter Biomarker und Zellkultur-Systeme
- Diagnostische Möglichkeiten unzureichend erforscht
- Häufig fehlende Grundlagenforschung bei genetisch bedingten SE
- Targets (Angriffspunkte) häufig unzureichend erforscht
- Häufig keine gesicherten Indikatoren für Behandlungserfolg
- Häufig niedrige Priorität der SE in Forschungseinrichtungen
- Schwierigkeit der Translation von Grundlagenforschung in die klinische Entwicklung (Ressourcen, Know-how, Partnering)

Forschung

Lösungsansätze

- Erforschung neuer diagnostischer Möglichkeiten
- Förderung der Grundlagenforschung in Universitäten & kleineren Unternehmen
- Erforschung von Indikatoren, auch wenn noch keine Therapie vorhanden ist
- Höherstufung der Priorität für SE in Forschungseinrichtungen
- Kontaktbörsen für Translation

Klinische Studien

Herausforderungen



- Rekrutierung für klinische Studien schwierig/langwierig
- Schlecht definierte klinische Endpunkte
- Vorbehalte bei Studien mit Kindern
- Bei Studien, die eine Untersuchung mit radioaktiven Stoffen oder ionisierender Strahlung (einschließlich Röntgenstrahlen) erforderlich machen, kann die Zeit bis zum Erhalt der Genehmigung durch das Bundesamt für Strahlenschutz (BfS) bis zu 9 Monate betragen.

Klinische Studien

Lösungsansätze

- Verbesserung der Rekrutierung durch „virtuelle Netzwerke“
- Aufklärung über die Vorteile einer Teilnahme an klinischen Prüfungen auch behördlicherseits (z.B. über Bundeszentrale für gesundheitliche Aufklärung)
- Verkürzung und Vereinfachung des Strahlenschutz-Genehmigungsverfahrens (Umsetzung in der gegenwärtig laufenden Novellierung der Röntgenverordnung und Strahlenschutzverordnung)

Eckpunkte für einen deutschen nationalen Aktionsplan für seltene Krankheiten

- 1 Etablierung eines deutschen Expertenkomitees für seltene Krankheiten
- 2 Deutsche Exzellenzzentren für seltene Krankheiten als Bestandteil europäischer Netzwerke
- 3 Verbesserung von Diagnose-Programmen und Erhöhung des Bewusstseins für seltene Krankheiten
- 4 Adäquate Codierung seltener Krankheiten
- 5 Schneller und unbürokratischer Zugang zu Orphan Drugs