



## Medizinische Biotechnologie in Deutschland 2014

Biopharmazeutika: Wirtschaftsdaten und Nutzen für Menschen mit seltenen Erkrankungen

Pressekonferenz am 07. Mai 2014

**BCG**

**vfa** Die forschenden  
Pharma-Unternehmen  
**bio**

**BCG**

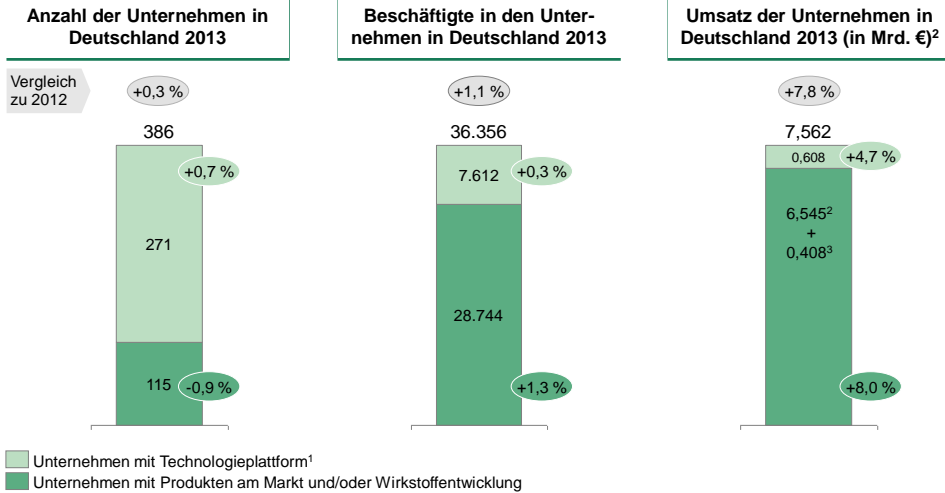
**vfa** Die forschenden  
Pharma-Unternehmen  
**bio**

## Medizinische Biotechnologie in Deutschland 2014

Biopharmazeutika: Wirtschaftsdaten und Nutzen für  
Menschen mit seltenen Erkrankungen

THE BOSTON CONSULTING GROUP

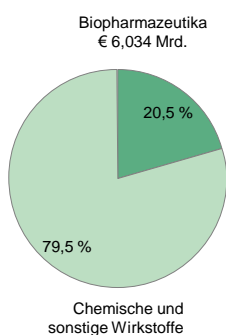
## Biopharmazeutische Industrie setzt positiven Trend fort



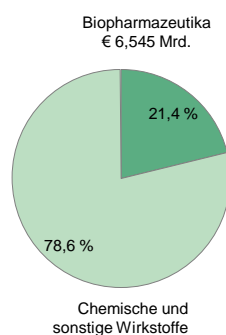
1. Aber ohne eigene Wirkstoffentwicklung 2. Netto-Gesamtumsatz (Apotheken- und Krankenhausmarkt) nach ApU (Abgabepreis pharmazeutischer Unternehmen) unter Berücksichtigung des 16%igen Herstellerabschlags (Zwangsrabatt) 3. Umsatz mit Lizenzen, Meilensteinzahlungen, Serviceleistungen etc. von aufstrebenden Unternehmen mit eigener Wirkstoffpipeline; BCG-Schätzung  
 Quelle: Bureau van Dijk; vfa-Mitgliedsunternehmen; Ernst & Young 2013; IMS PharmaScope® National und IMS DPM®, BCG-Analyse  
 THE BOSTON CONSULTING GROUP

## Biopharmazeutika wachsen stärker als Gesamtmarkt

Umsatz & Anteil Biopharmazeutika am gesamten Pharmamarkt<sup>1,2</sup> (Netto, Deutschland, 2012, in Mrd. €)



Umsatz & Anteil Biopharmazeutika am gesamten Pharmamarkt<sup>1,2</sup> (Netto, Deutschland, 2013, in Mrd. €)



Biofarmazeutika: Veränderung 2012-2013

8,5 %

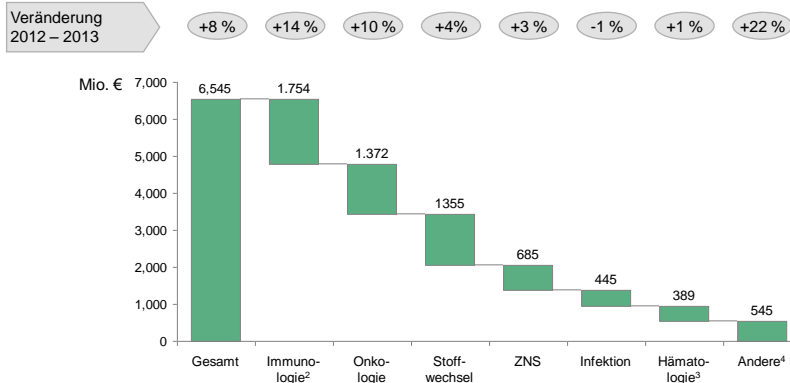
Gesamtmarkt: Veränderung 2012-2013

4,1 %

1. Netto-Gesamtumsatz (Apotheken- und Krankenhausmarkt) nach ApU (Abgabepreis pharmazeutischer Unternehmen) unter Berücksichtigung des 16%igen Herstellerabschlags (Zwangsrabatt)  
 2. IMS PharmaScope® National und IMS DPM®  
 Anmerkung: Biopharmazeutika = Arzneimittel, deren Wirkstoffe mit Hilfe gentechnisch veränderter Organismen hergestellt werden  
 Quelle: IMS PharmaScope® National und IMS DPM®, BCG-Analyse  
 THE BOSTON CONSULTING GROUP

## Hoher medizinischer Bedarf in Immunologie und Onkologie bildet weiter den Schwerpunkt des Wachstums

Umsatz<sup>1</sup> mit Biopharmazeutika in Deutschland 2013



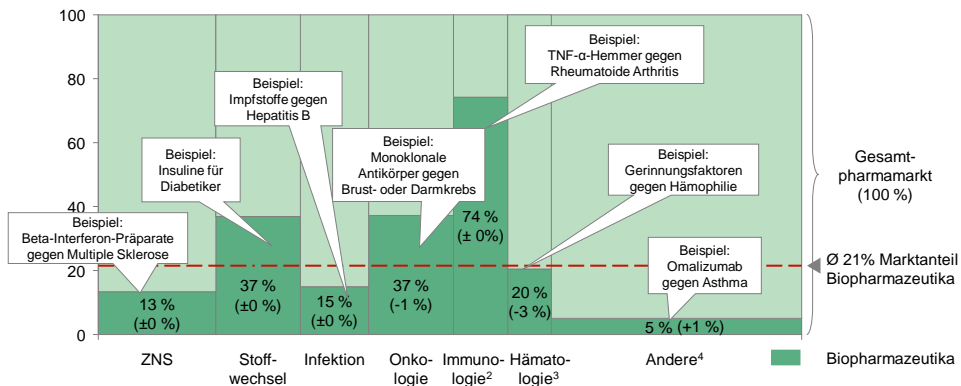
1. Netto-Gesamtumsatz (Apotheken- und Krankenhausmarkt) nach ApU (Abgabepreis pharmazeutischer Unternehmen) unter Berücksichtigung des 16%igen Herstellerabschlags (Zwangsrabatt)  
 2. U.a. TNF- $\alpha$ -Hemmer gegen Rheumatoide Arthritis & Filgrastine zur Behandlung von Neutropenien bei Krebserkrankungen; exklusive Multipler Sklerose (s. ZNS) 3. U.a. Epoetine gegen Anämie; exklusive hämatologischer Onkologie 4. U.a. Ophthalmologie, Osteoporose (monoklonale Antikörper), Pneumologie  
 Quelle: IMS PharmaScope<sup>®</sup> National und IMS DPM<sup>®</sup>; BCG-Analyse

THE BOSTON CONSULTING GROUP

4

## Drei Anwendungsgebiete mit überdurchschnittlich hohem Biopharmazeutika-Anteil

Anteil Biopharmazeutika am Gesamtpharmamarkt (Netto-Umsatz Deutschland 2013<sup>1</sup>)



1. Netto-Gesamtumsatz (Apotheken- und Krankenhausmarkt) nach ApU (Abgabepreis pharmazeutischer Unternehmen) unter Berücksichtigung des 16%igen Herstellerabschlags (Zwangsrabatt)  
 2. TNF- $\alpha$ -Hemmer gegen Rheumatoide Arthritis; exklusive Multipler Sklerose (s. ZNS) 3. U.a. Epoetine gegen Anämie; exklusive hämatologischer Onkologie 4. U.a. Ophthalmologie, Osteoporose (monoklonale Antikörper), Pneumologie  
 Quelle: IMS PharmaScope<sup>®</sup> National und IMS DPM<sup>®</sup>; BCG-Analyse

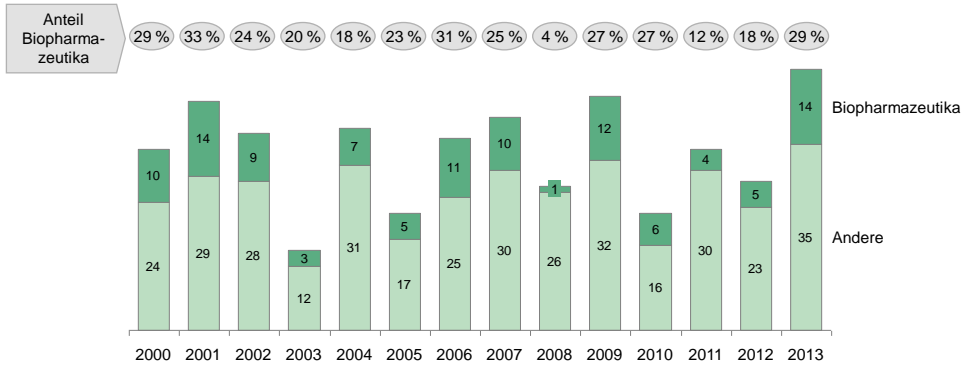
THE BOSTON CONSULTING GROUP

5

# Starkes Jahr für neue Biopharmazeutika

Knapp ein Drittel aller Neuzulassungen

Zahl der Neuzulassungen<sup>1</sup>

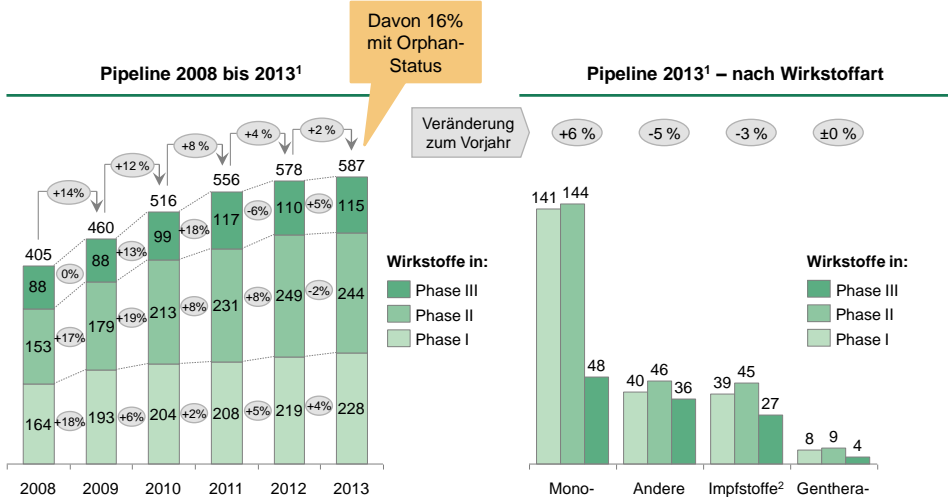


<sup>1</sup> Neuzulassungen in Deutschland/EU; neue Wirkstoffe oder neue Kombinationen bekannter Wirkstoffe inklusive Biosimilars  
Quelle: EMA; Europäische Kommission; vfa; BCG-Analyse

THE BOSTON CONSULTING GROUP

6

# Weiterhin hohe Investitionen in Biopharmazeutika-Pipeline



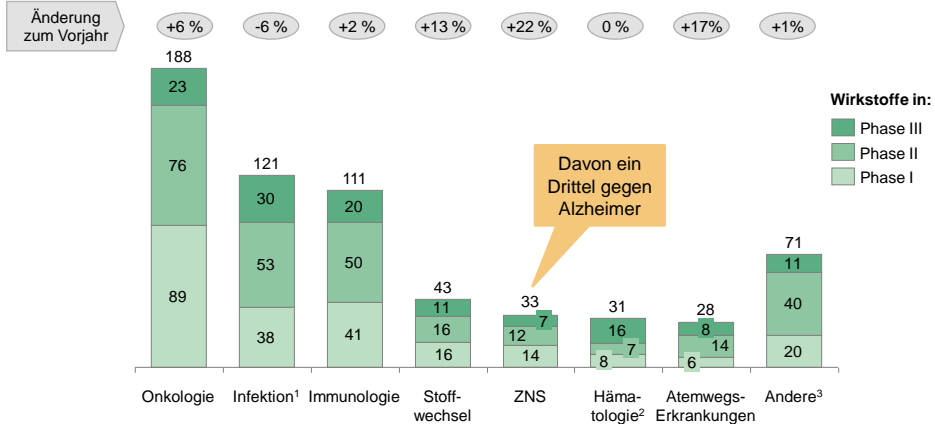
<sup>1</sup> Anzahl neuer Wirkstoffe in der am weitesten fortgeschrittenen Phase 2. Biotechnologisch und gentechnisch hergestellt  
Anmerkung: Phase I/IIa in Phase I enthalten; Wirkstoffe im Zulassungsverfahren in Phase III enthalten; Wirkstoffe in weltweit durchgeführten Studien von in Deutschland tätigen Unternehmen  
Quelle: EvaluatePharma; Citeline's Pharmaprojects Pipeline Service, Jan 2014; vfa; Unternehmensauskünfte; BCG-Analyse

THE BOSTON CONSULTING GROUP

7

## Entwicklungsschwerpunkte: Krebspräparate und Impfstoffe

Zahl der biopharmazeutischen Wirkstoffe je Indikationsgebiet in der Pipeline (2013)



1. inkl. biotechnologisch und gentechnisch hergestellte Impfstoffe 2. U. a. Antianämika, Antithrombotika, Fibrinolytika, etc., exklusive hämatologische Onkologie 3. U. a. Wirkstoffe für Erkrankungen von Muskeln, Knochen, Herz-Kreislauf etc.  
 Anmerkung: Phase IIIa in Phase I enthalten; Wirkstoffe im Zulassungsverfahren in Phase III enthalten; Mehrfachzählung möglich: manche Wirkstoffe in zwei oder mehr Indikationsgebieten in der Entwicklung; Wirkstoffe in weltweit durchgeführten Studien von in Deutschland tätigen Unternehmen  
 Quelle: EvaluatePharma; Citeline's Pharmaprojects Pipeline Service, Jan 2014; vfa bio; Unternehmensinformationen; BCG-Analyse

THE BOSTON CONSULTING GROUP

8

## Innovationsfreundlicheres Umfeld in Deutschland erforderlich



### Steuerliche Forschungsförderung für den Standort Deutschland

- In den meisten OECD-Ländern etabliertes und bewährtes Förderinstrument
- Steuergutschrift in Höhe von 10 % der F&E-Aufwendungen



### Verbesserung der steuerlichen Rahmenbedingungen für KMU<sup>1</sup> und Wagniskapitalfirmen

- Verlustvortrag wieder über mehrere Jahre ermöglichen einschließlich Verrechnung mit späteren Gewinnen
- Steuerfreie Veräußerungserlöse, wenn sie in andere Unternehmen investiert werden



### Mehr Planungssicherheit für die Pharma- und Biotech-Firmen in Deutschland

- Aufeinander abgestimmte Gesundheits-, Forschungs- und Wirtschaftspolitik
- Nutzenbewertung: Medizinischer Nutzen statt Kosten im Vordergrund

1. Kleine und mittlere Unternehmen  
 Copyright der Bilder (von oben nach unten): vfa / Martin Joppen, BMF, Branislav (iStockphoto)  
 Quellen: Gutachten der Expertenkommission Forschung und Innovation (EFI)

THE BOSTON CONSULTING GROUP

9

## Voraussetzungen für den Orphan-Status in der EU

### Erkrankung selten

Nicht mehr als fünf Patienten unter 10.000 Menschen in der EU



### & Erkrankung schwer

Lebensbedrohlich oder zu chronischer Invalidität führend



### & Medikament mit Zusatznutzen

Nutzen, wenn bislang eine zufriedenstellende Behandlungsoption fehlt oder signifikanter Zusatznutzen gegenüber bestehender Behandlungsoption erwartet wird

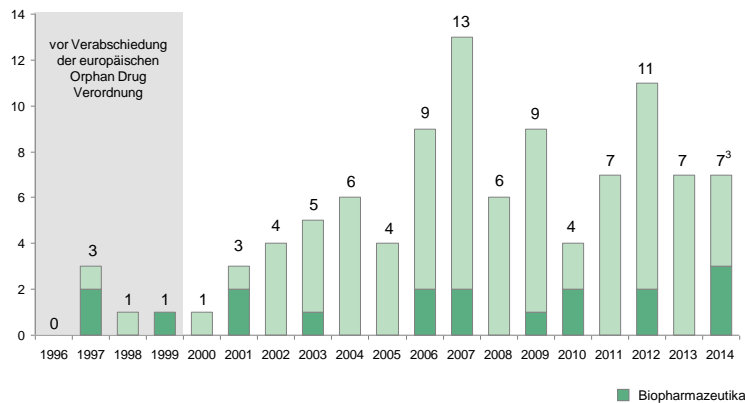


Copyright der Bilder (von links nach rechts): Africa Studio (shutterstock), Monkey Business Images (shutterstock), Warren Goldswain (shutterstock)  
THE BOSTON CONSULTING GROUP

10

## Bisher wurden 101 Orphan Drugs in der EU zugelassen<sup>1</sup>; davon besitzen 69 noch einen aktiven Orphan-Status

Neuzulassungen für Medikamente mit Orphan-Status in der Europäischen Union<sup>2</sup>



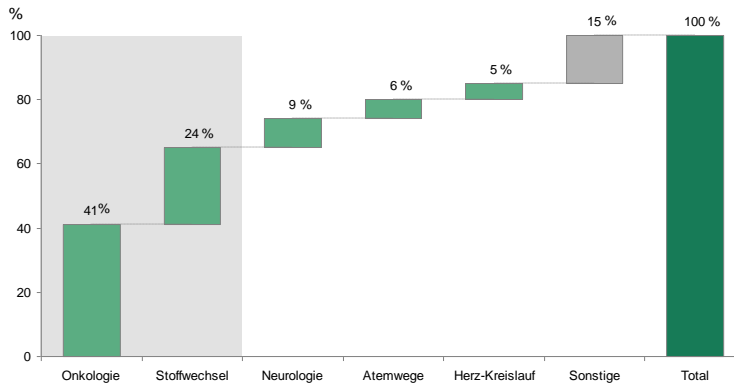
1. Darunter fünf Medikamente mit Zulassung vor 2000, die für den Status qualifiziert gewesen wären  
2. Einige dieser Medikamente sind für die Therapie mehrerer seltener Krankheiten zugelassen  
3. Prognose 2014  
Anmerkung: Abbildung umfasst auch Medikamente, die inzwischen keinen Orphan-Status mehr haben oder vom Markt genommen worden sind  
Quelle: vfa (Stand Dezember 2013) mit Prognose für 2014

THE BOSTON CONSULTING GROUP

11

## Zwei Drittel aller Orphan Drugs sind zur Behandlung seltener Formen von Krebs und Stoffwechselerkrankungen zugelassen

Prozentuale Gliederung der 101 Wirkstoffe<sup>1</sup> gegen 79 Erkrankungen nach Anwendungsgebiet

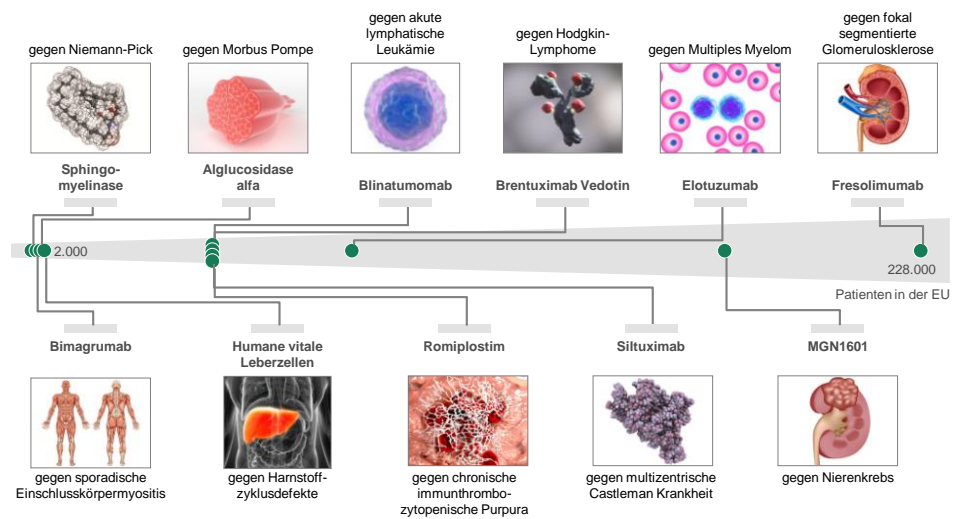


1. darin enthalten 32 Wirkstoffe, die keinen Orphan-Status mehr haben  
Quelle: vfa (Stand Dezember 2013)

THE BOSTON CONSULTING GROUP

12

## Biopharmazeutische Orphan Drugs für Patienten mit seltenen Erkrankungen: Auswahl aus dem Biotech-Report 2014



Copyright der Bilder (von links nach rechts und oben nach unten): molekui.be (shutterstock), somersault1824 (shutterstock), somersault1824 (shutterstock), Pharma Vertrieb GmbH & Co. KG, Sebastian Kaulitzki (shutterstock), Lightsprig (shutterstock), stihl (shutterstock), Sebastian Kaulitzki (shutterstock), Juan Gaertner (shutterstock), molekui.be (shutterstock), Ailia Medical Media (shutterstock)

THE BOSTON CONSULTING GROUP

13

## Häufige Missverständnisse bei Orphan Drugs

### Mythen



*"Der Zusatznutzen von Orphan Drugs ist unbewiesen, denn der G-BA darf ihn ja gar nicht ermitteln"*

*"Hersteller erfinden seltene Erkrankungen, indem sie größere Anwendungsgebiete in Untergruppen unterteilen ("Orphanisierung"/"Slicing")"*

*"Orphan Drugs treiben die GKV-Arzneimittelausgaben in die Höhe"*

### Fakten



Ein bei der EMA<sup>1</sup> nachgewiesener **Zusatznutzen** ist **Voraussetzung für den Orphan-Status**; zusätzlich bestimmt der G-BA das Ausmaß des Zusatznutzens

Die **EU-Regelungen** **verbieten** hier ausdrücklich **Untergruppen** für Orphan-Status; dies wird auch konsequent umgesetzt

Orphan Drugs sind nur für **weniger als 3 % der GKV<sup>2</sup>-Arzneimittelausgaben** für die ambulante Versorgung in Deutschland verantwortlich

1. European Medicines Agency  
2. Gesetzliche Krankenversicherung  
Copyright der Bilder (von oben nach unten): SasinT (shutterstock), jorisvo (shutterstock)

## Großer Handlungsbedarf: Noch immer warten viele Patienten mit seltenen Erkrankungen auf eine Therapie



**Konsequente Förderung der Entwicklung neuer Therapien** gegen seltene Erkrankungen entlang der gesamten Wertschöpfungskette

- 4 Millionen Patienten mit seltenen Erkrankungen in Deutschland
- 6.000 – 8.000 seltene Erkrankungen, aber bisher nur rund 100 Orphan Drug-Zulassungen



**Umsetzung der Maßnahmen** des im August 2013 veröffentlichten **Nationalen Aktionsplans für Menschen mit Selteneren Erkrankungen**

- Bildung national anerkannter Fachzentren
- Einbettung der weiteren Behandlung in die wohnortnahe qualitätsgesicherte Versorgung
- Flächendeckende Anerkennung von Orphan Drugs als Praxisbesonderheit



**Anpassung von AMNOG und früher Nutzenbewertung an Besonderheiten der Orphan Drugs**

- Aussage zum Ausmaß des Zusatznutzens durch den G-BA in erster Bewertung für das Stellungnahmeverfahren erforderlich
- Berücksichtigung der Seltenheit bei den Patientenzahlen und bei der Festlegung von Endpunkten

Copyright der Bilder (von oben nach unten): Merck KGaA, NAMSE, BrA182 (shutterstock)



## Folien für Handout

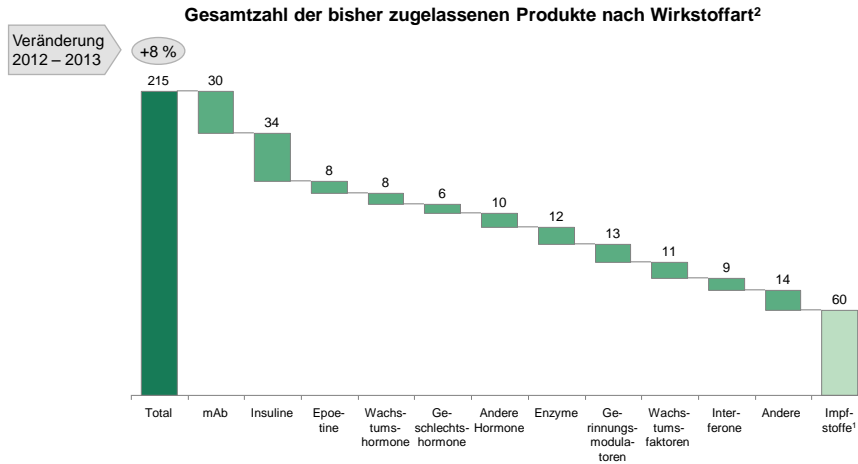
## Datenbasis

**Die vorliegende Studie ist die neunte einer gemeinsam von vfa bio und The Boston Consulting Group erarbeiteten Studienreihe zur Lage der medizinischen Biotechnologie in Deutschland.**

**Die Bestandsaufnahme umfasst die biotechnologischen Aktivitäten folgender Firmen in Deutschland**

- kleine und mittelständische Biotech-Unternehmen
- mittelständische und große Arzneimittelhersteller
- deutsche Tochtergesellschaften bedeutender internationaler Pharma- und Biotech-Firmen

## Deutlicher Anstieg der zugelassenen Biopharmazeutika<sup>1</sup>



1. Inkl. biotechnologisch und gentechnisch hergestellter Impfstoffe 2. Inklusive Biosimilars  
Anmerkung: Stichtag 31.12.2013  
Quelle: Unternehmensauskünfte; EvaluatePharma; BCG-Analyse

THE BOSTON CONSULTING GROUP

18

## 2013 wurden in D/EU 14 rekombinant hergestellte Biopharmazeutika zugelassen (I)

Klassifizierung	Wirkstoff	Therapiegebiet	Wirkung/Nutzen
Antikörper	PERTUZUMAB	HER2-positiver Brustkrebs (personalisierter Einsatz)	Monokl. Antikörper zur Behandlung von HER2-positivem, metastasiertem oder lokal rezidivierendem, inoperablem Brustkrebs; verhindert Verb. von HER2 mit anderen HER-Rezeptoren und damit die Weiterleitung von Wachstumssignalen; ermöglicht längeres Überleben
	TRASTUZUMAB EMTANSIN	HER2-positiver Brustkrebs (personalisierter Einsatz)	Zusätzlich zur Trastuzumabwirkung stoppt DM1 die Bildung des Zellskeletts und verhindert dadurch Teilung und Wachstum der Krebszellen - führt zu einer Überlebensverlängerung bei vorbehandelten Patientinnen
Andere rekombinante Proteine	PEGLOTICASE	Schwer einschränkende chron. Gicht mit Bildung von Gichtknoten bei bestimmten Erwachsenen	Rekomb. Enzym Uricase baut die Gicht auslösende Harnsäure zu ausscheidbaren Allantoin ab. Pegylierung verzögert Wirkstoff-Abbau und mindert mögliche Abwehrreaktionen; Verabreichung nur alle zwei bis vier Wochen
	INSULIN DEGLUDEC	Diabetes mellitus bei Erwachsenen	Lang wirksames Analog-Insulin zur einmaligen Anwendung pro Tag
	INSULIN DEGLUDEC/ INSULIN ASPART	Diabetes mellitus bei Erwachsenen	Mischung aus schnell und lang wirksamem Analog-Insulin zur ein- oder zweimaligen Anwendung pro Tag
	OCRIPLASMIN	Vitreomakuläre Traktion (VMT) bei Erwachsenen	Ocriplasmin ähnelt dem humanen Plasmin, das zum Abbau der für die Adhäsion verantwortlichen Proteine zwischen Glaskörper und Netzhaut fähig ist. Es löst die Adhäsion zwischen Glaskörper und Netzhaut wirksam auf

Quelle: vfa

THE BOSTON CONSULTING GROUP

19

## 2013 wurden in D/EU 14 rekombinant hergestellte Biopharmazeutika zugelassen (II)

Klassifizierung	Wirkstoff	Therapiegebiet	Wirkung/Nutzen
Andere rekombinante Proteine	LIPEGILGRASTIM	Neutropenie	Weiterer pegylierter Granulozyten-Kolonie-stimulierender Faktor; Pegylierung führt zur Verlängerung der Verweildauer im Blut und ermöglicht Einmalgabe pro Chemotherapie-Zyklus
	TUROCTOCOG ALFA	Hämophilie A	Ersetzt fehlenden Faktor VIII bei erbtem Faktor VIII-Mangel; zur Prophylaxe und Behandlung von Blutungen bei Hämophilie A
Gentechnisch (rekombinant) hergestellte Impfstoffe	IMPfstoff GEGEN MENINGOKOKKEN B	Aktive Immunisierung gegen invasive Meningokokken-B-Erkrankungen	Erster Impfstoff gegen Meningokokken der Serogruppe B, die lebensgefährliche Hirnhautentzündungen verursachen; zwei Drittel der Meningitis-Fälle in Deutschland werden durch B-Meningokokken verursacht
	SECHSFACH-IMPfstoff	Aktive Immunisierung gegen 6 Krankheiten (Säuglinge und Kleinkinder)	Sechsfach-Impfstoff gegen Diphtherie, Tetanus, Pertussis, Hepatitis B, Poliomyelitis und durch Haemophilus influenzae Typ b (Hib) verursachte invasive Krankheiten; Hepatitis B-Komponente ist gentechnisch hergestellt

Quelle: vfa

THE BOSTON CONSULTING GROUP

20

## 2013 wurden in D/EU 14 rekombinant hergestellte Biopharmazeutika zugelassen (III)

Klassifizierung	Wirkstoff	Therapiegebiet	Wirkung/Nutzen
Biosimilar-Zulassungen	SOMATROPIN	Minderwuchs bei Kindern ab zwei Jahren und bei Erwachsenen	Substitutionstherapie endogener Wachstumshormone; Biosimilar-Zulassung; keine Erweiterung der Therapieoptionen
	INFLIXIMAB	Rheum. & Psoriasis-Arthritis, Psoriasis, M. Crohn, Colitis ulcerosa, ankylos. Spondylitis	Erste Biosimilar-Zulassung eines monoklonalen Antikörpers; keine Erweiterung der Therapieoptionen
	FOLLITROPIN ALFA	Stimulation von Follikelreifung bzw. Spermatogenese	Biosimilar-Zulassung; keine Erweiterung der Therapieoptionen
	FILGRASTIM	Neutropenie und Mobilisierung von Blutstammzellen bei Erwachsenen	Granulozyten-Kolonie-stimulierender Faktor; Biosimilar-Zulassung; keine Erweiterung der Therapieoptionen

Quelle: vfa

THE BOSTON CONSULTING GROUP

21

## Ebenfalls neu in D/EU: zwei biotechn. hergestellte Impfstoffe sowie ein Produkt mit gentechnisch hergestelltem Hilfsstoff

Klassifizierung	Wirkstoff	Therapiegebiet	Wirkung/Nutzen
Biotechnologisch hergestellte Impfstoffe	POCKEN-IMPfstOFF	Aktive Immunisierung gegen Pocken	Impfstoff zum Schutz vor Pockenviren
	GRIPPE-IMPfstOFF	Gripeschutzimpfung	Impfstoff basierend auf vier Grippevirenstämmen zur nasalen Anwendung zur Verhütung einer Influenza bei Kindern und Jugendlichen von 24 Monaten bis 18 Jahren
Produkt mit gentechnisch hergestelltem Hilfsstoff	HUMANES IMMUNGLOBULIN	Prim. Immunmangel-syn-drome; sek. Hypo-gammaglobulinämie bei Myelomen und CML	Substitutionstherapie bei prim. Immundefektsyndromen sowie bei Myelom oder chronischer lymphatischer Leukämie mit schwerer sek. Hypogammaglobulinämie und rezidivierenden Infekten. Arzneimittel enthält gentechnisch hergestellte humane Hyaluronidase (Hilfsstoff), die die Verteilung und Resorption des Immunglobulins unterstützt

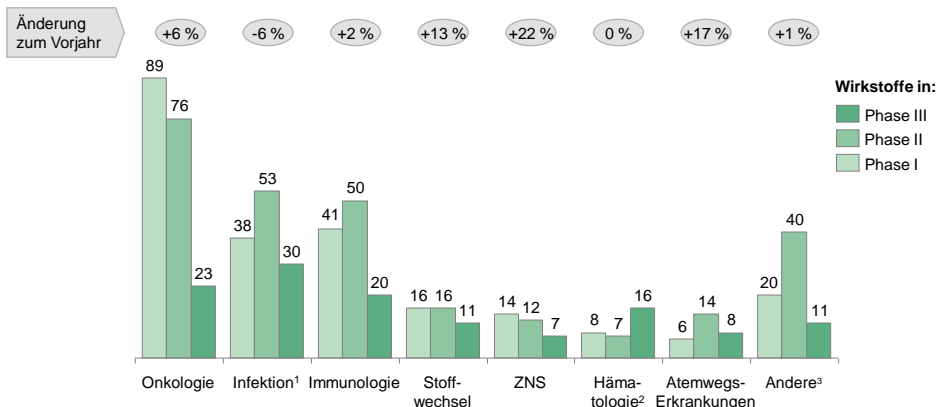
Quelle: vfa

THE BOSTON CONSULTING GROUP

22

## Entwicklungsschwerpunkte: Krebspräparate und Impfstoffe

Zahl der biopharmazeutischen Wirkstoffe in der Pipeline je Indikationsgebiet (2013)<sup>1</sup>



<sup>1</sup> inkl. biotechnologisch und gentechnisch hergestellte Impfstoffe <sup>2</sup> U. a. Antianämika, Antithrombotika, Fibrinolytika, etc., exklusive hämatologische Onkologie <sup>3</sup> U. a. Wirkstoffe für Erkrankungen von Muskeln, Herz-Kreislauf, Knochen etc.  
Anmerkung: Phase I/IIa in Phase I enthalten; Wirkstoffe im Zulassungsverfahren in Phase III enthalten; Mehrfachzählung möglich: manche Wirkstoffe in zwei oder mehr Indikationsgebieten in der Entwicklung; Wirkstoffe in weltweit durchgeführten Studien von in Deutschland tätigen Unternehmen  
Quelle: EvaluatePharma; Cyteline's Pharmaprojects Pipeline Service, Jan 2014; vfa bio; Unternehmensinformationen; BCG-Analyse

THE BOSTON CONSULTING GROUP

23