

Arzneimittelentwicklung bei seltenen Erkrankungen: Bedürfnisse und Beiträge der Patienten

Dr.phil.nat. Andreas L.G. Reimann, MBA

Geschäftsführer
Mukoviszidose Institut – gemeinnützige Gesellschaft
für Forschung und Therapieentwicklung mbH

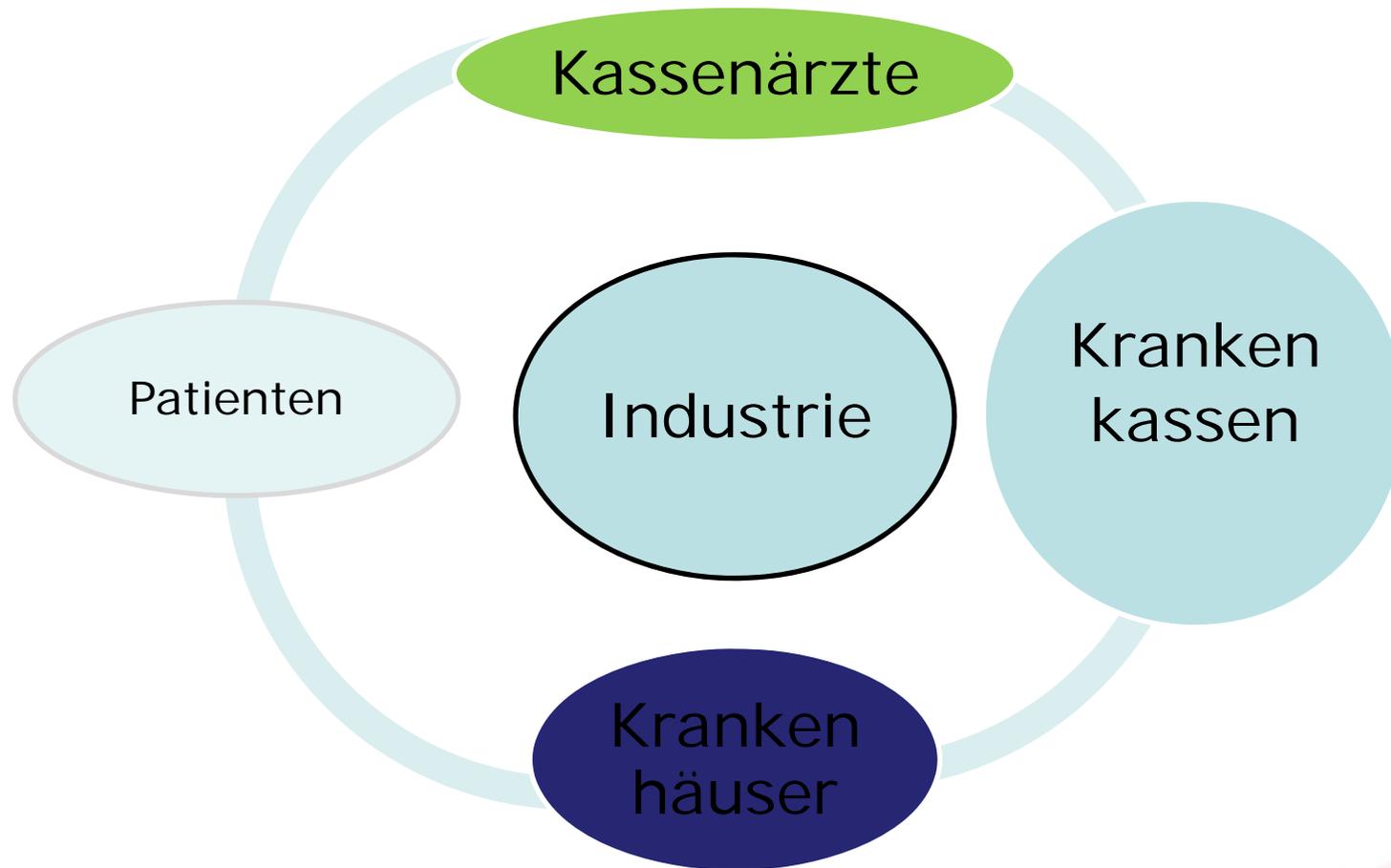
Geschäftsführer, Mukoviszidose e.V., Bonn

1.Stellv.Vorsitzender
Allianz Chronischer Seltener Erkrankungen (ACHSE) e.V., Berlin

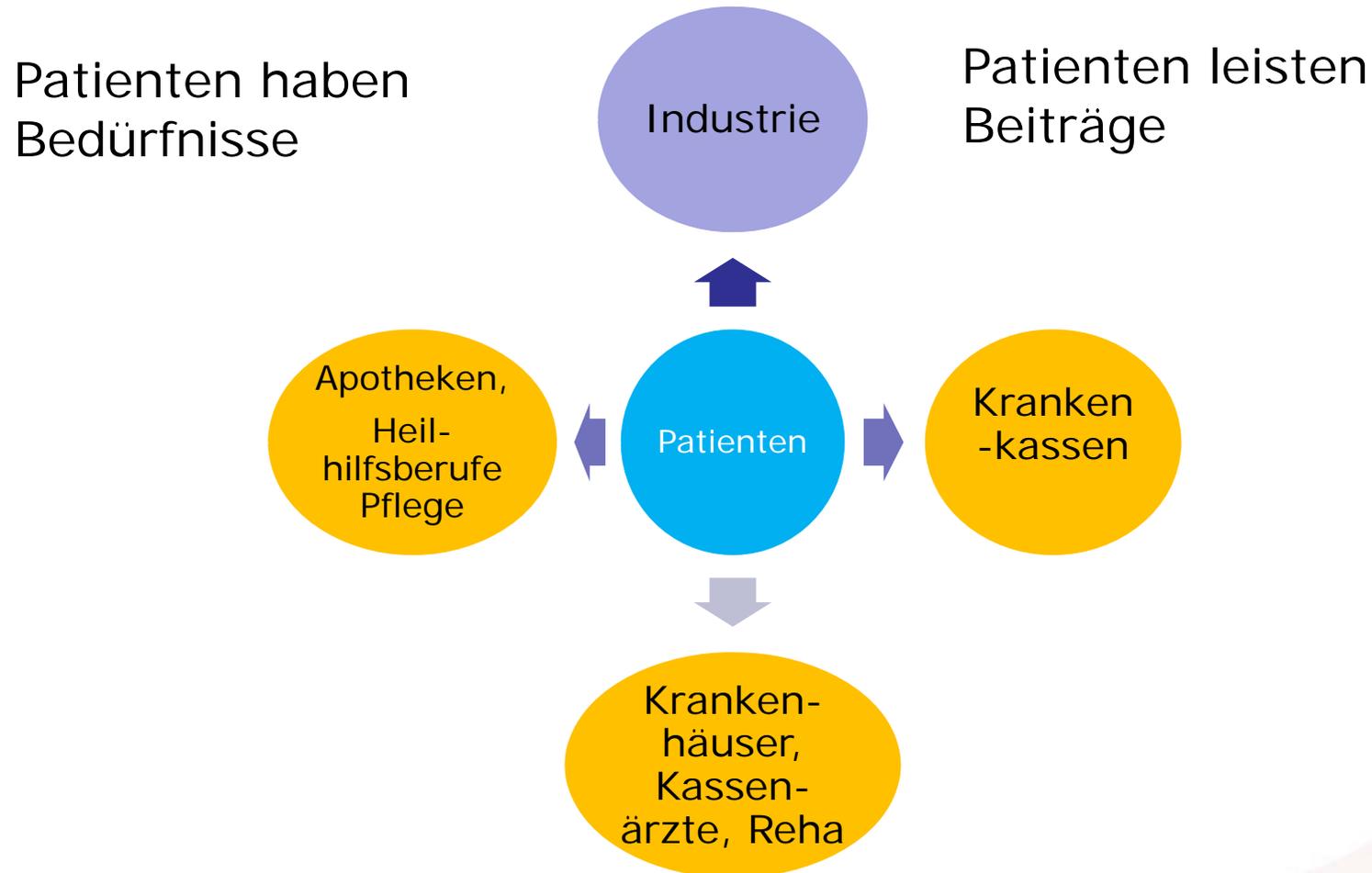
Potentielle Interessenkonflikte

- Hauptamtlicher Geschäftsführer des Mukoviszidose e.V. und der Mukoviszidose Institut gGmbH, Bonn
- Ehrenamtliches Vorstandsmitglied der Allianz Chronischer Seltener Erkrankungen (ACHSE)
- Im Geschäftsjahr 2007/2008 wurden insgesamt ca. 5,9% der Einkünfte des Mukoviszidose e.V. direkt oder indirekt mit Unternehmen der gesundheitsbezogenen Industrie (Pharma, Med. Technik) erwirtschaftet (Industrieausstellungen, Anzeigen, Sponsoring)
- Diese Umsätze verteilen sich auf ca. 30 Geschäftspartner. Davon waren aus der pharm. Industrie Novartis Pharma GmbH, Hoffmann LaRoche AG, AXCAN GmbH, Infectopharm GmbH, Asche Chiesi GmbH, Solvay Arzneimittel GmbH und Grünenthal GmbH die Bedeutendsten. Keines dieser Unternehmen trug mehr als 1% zum Gesamtertrag bei.
- Es bestehen keine immateriellen Interessenkonflikte

Unser Gesundheitssystem aus Sicht der Industrie...

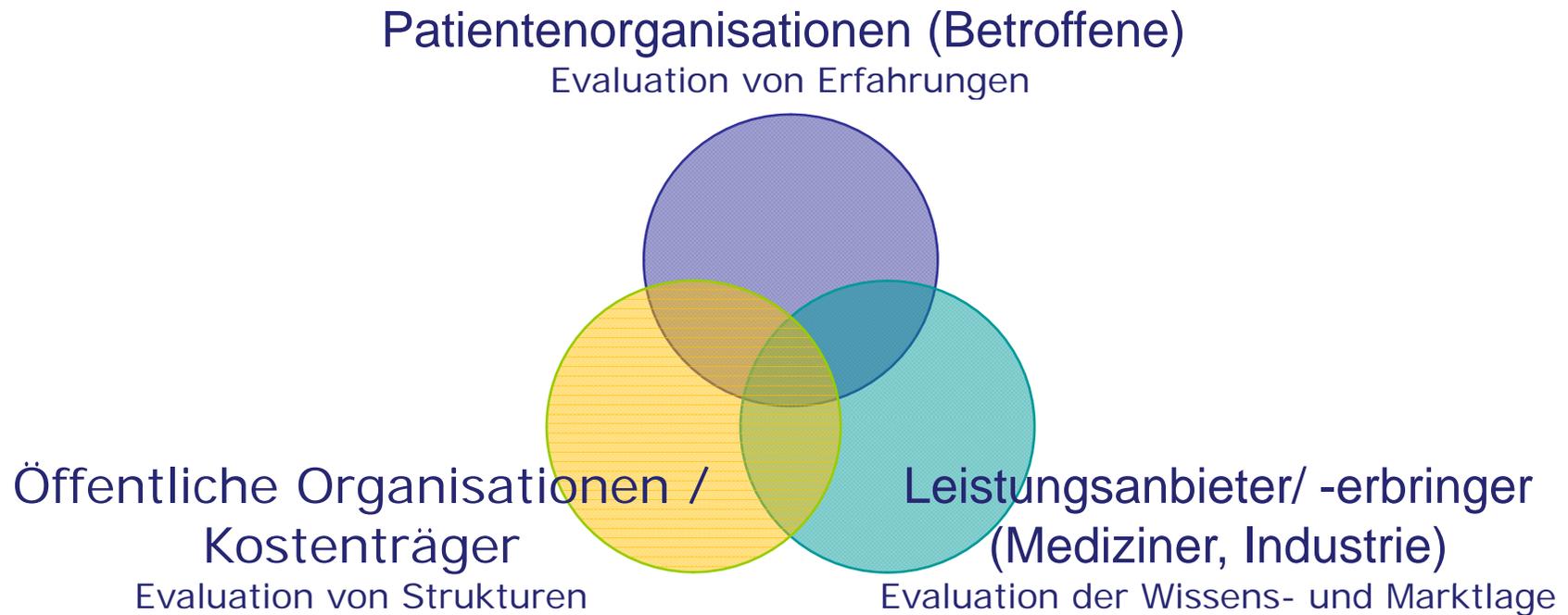


Ein neuer Blick auf unser Gesundheitssystem



Was sind die Bedürfnisse der Patienten?

Studie im Auftrag des BMG



Die gesundheitliche Situation von Menschen mit seltenen Erkrankungen in Deutschland, Studie im Auftrag des BMG, Berlin 2009

Studie im Auftrag des BMG

Leibniz Universität Hannover **Forschungsstelle für Gesundheitsökonomie** 2009

Dr. Daniela Eidt-Koch

Dipl.-Ök. Martin Frank

Dr. Andreas L.G. Reimann

Prof. Dr. Thomas O.F. Wagner

Dr. Thomas Mittendorf

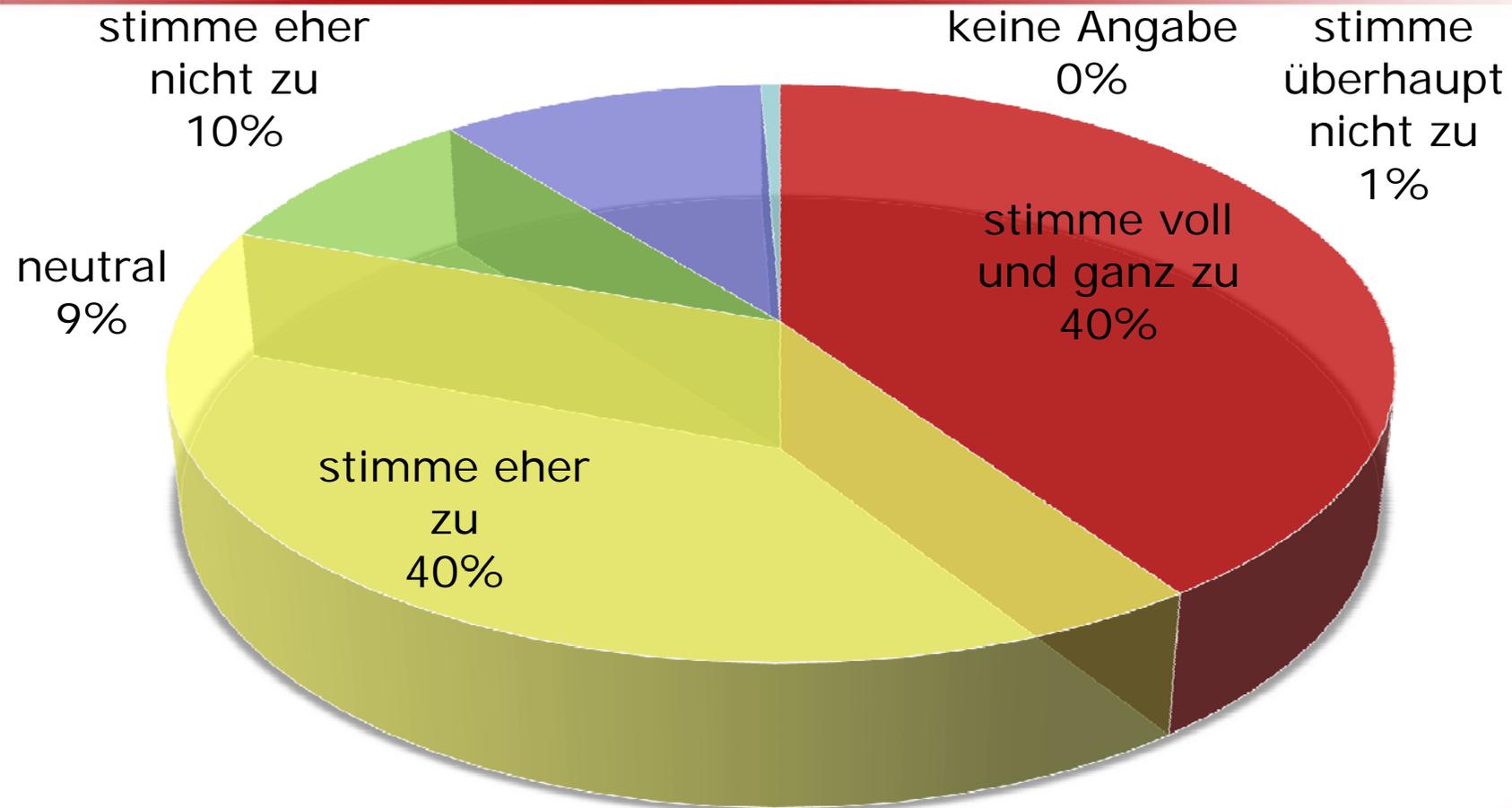
Prof. Dr. J.-M. Graf von der Schulenburg

http://www.bmg.bund.de/cIn_151/nn_1168300/sid_0B91380411F7BEB5190E81E121AF7ADB/SharedDocs/Publikationen/DE/Forschungsberichte/seltene-erkrankungen,templateId=raw,property=publicationFile.pdf/seltene-erkrankungen.pdf

Typische Probleme von Betroffenen mit Seltenen Erkrankungen

- Langer Weg zur Diagnose
- Kampf um Verständnis bei Ärzten, Krankenhäusern, Krankenkassen, Angehörigen, Freunden...
- Isolation und Einsamkeit
- Suche nach kompetenter Behandlung
- Mangel an erfahrenen Ärzten und nicht-ärztlichen Therapeuten
- Fehlende Versorgungsstrukturen
- Fehlende therapeutische Optionen

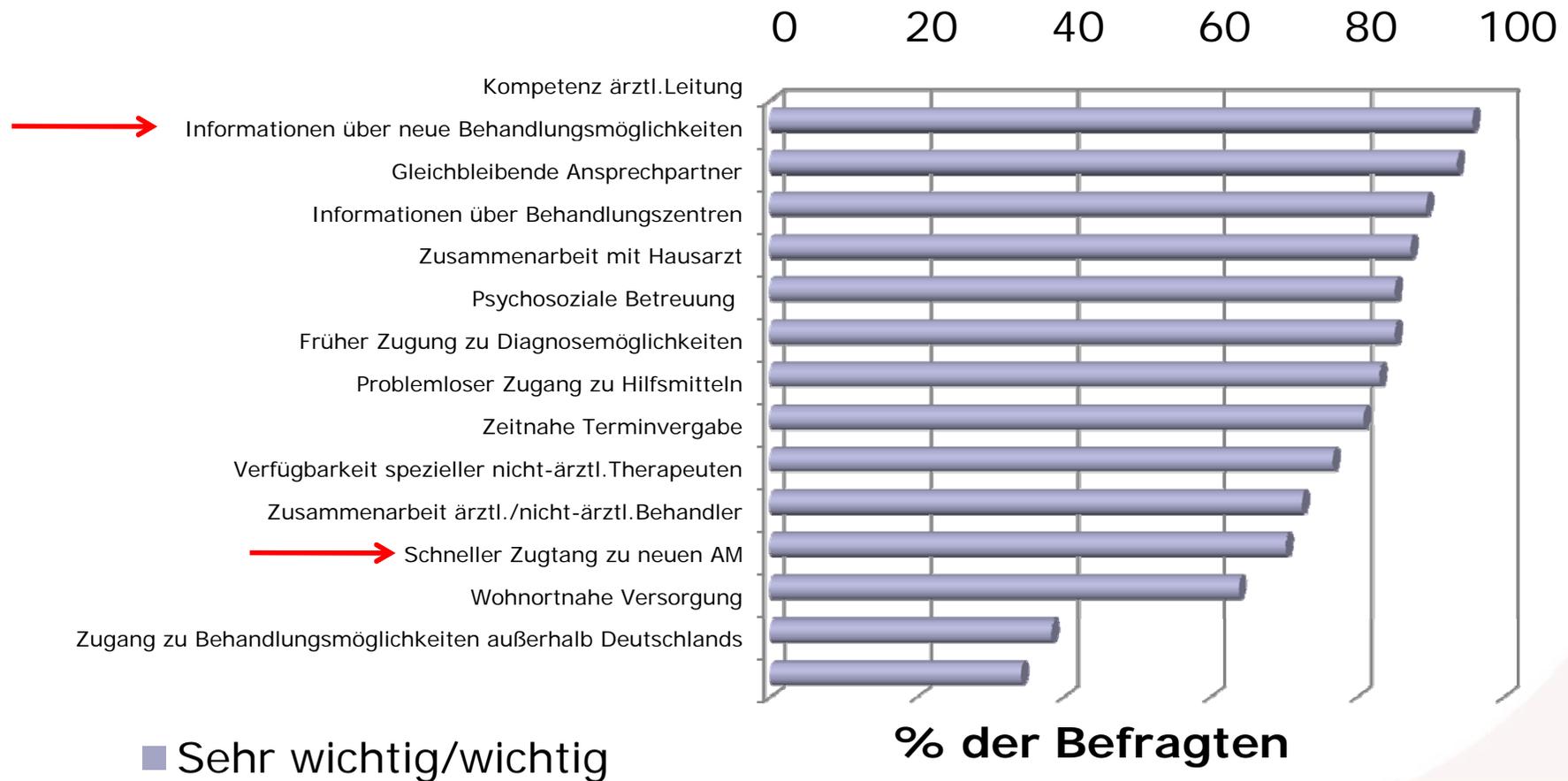
Die Seltenen Erkrankungen finden derzeit in Deutschland zu wenig Beachtung



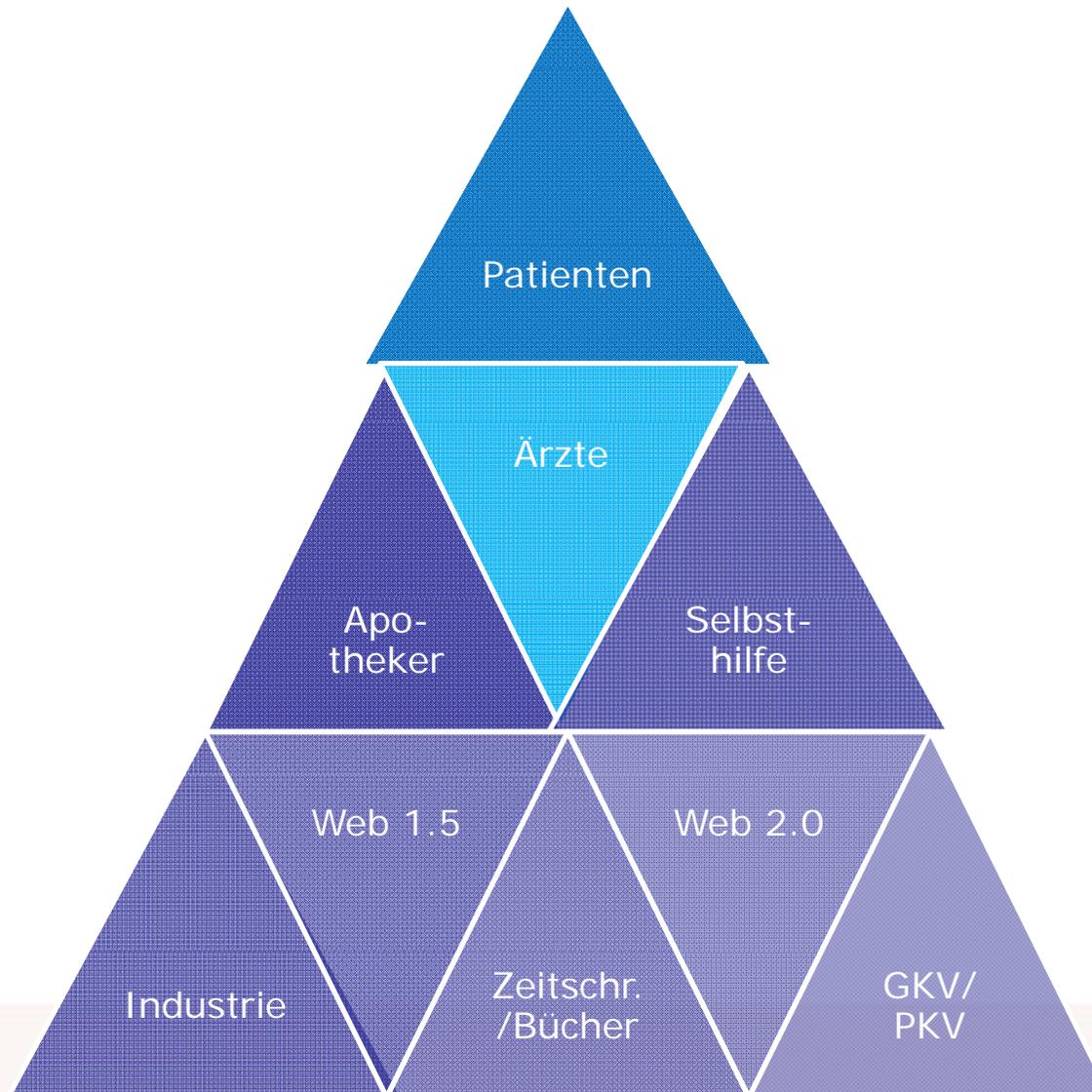
Es gibt keine seltenen Erkrankungen...

- ... für den Patienten
- Für den Patienten gibt es keine seltene Erkrankungen. Er ist entweder erkrankt oder nicht. Er hat die gleichen Bedürfnisse wie der Patient mit einer Volkskrankheit.

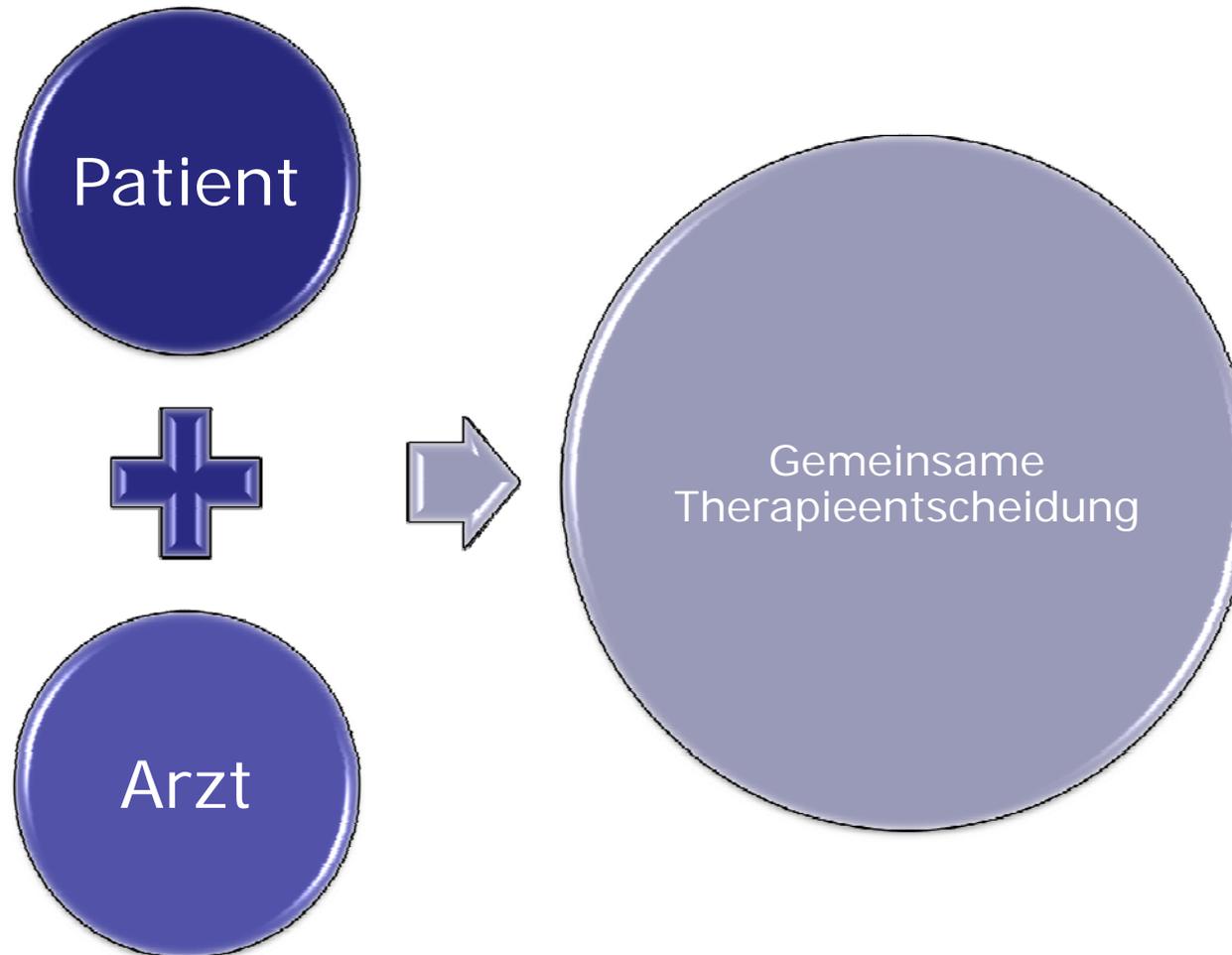
Präferenzen von Patienten mit seltenen Erkrankungen für die Behandlung



Informationsquellen für Patienten



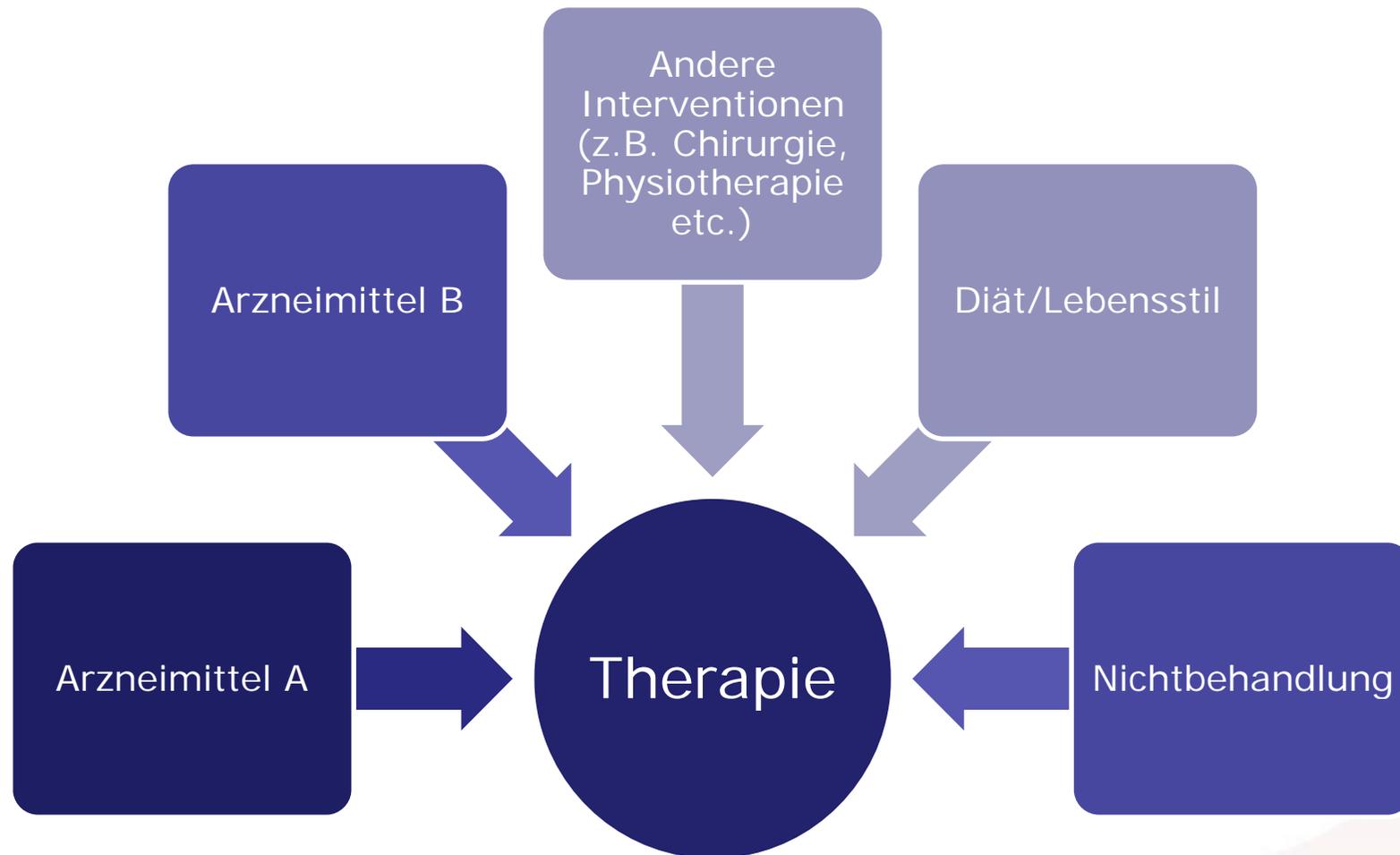
Informationen müssen gemeinsame Therapieentscheidung unterstützen



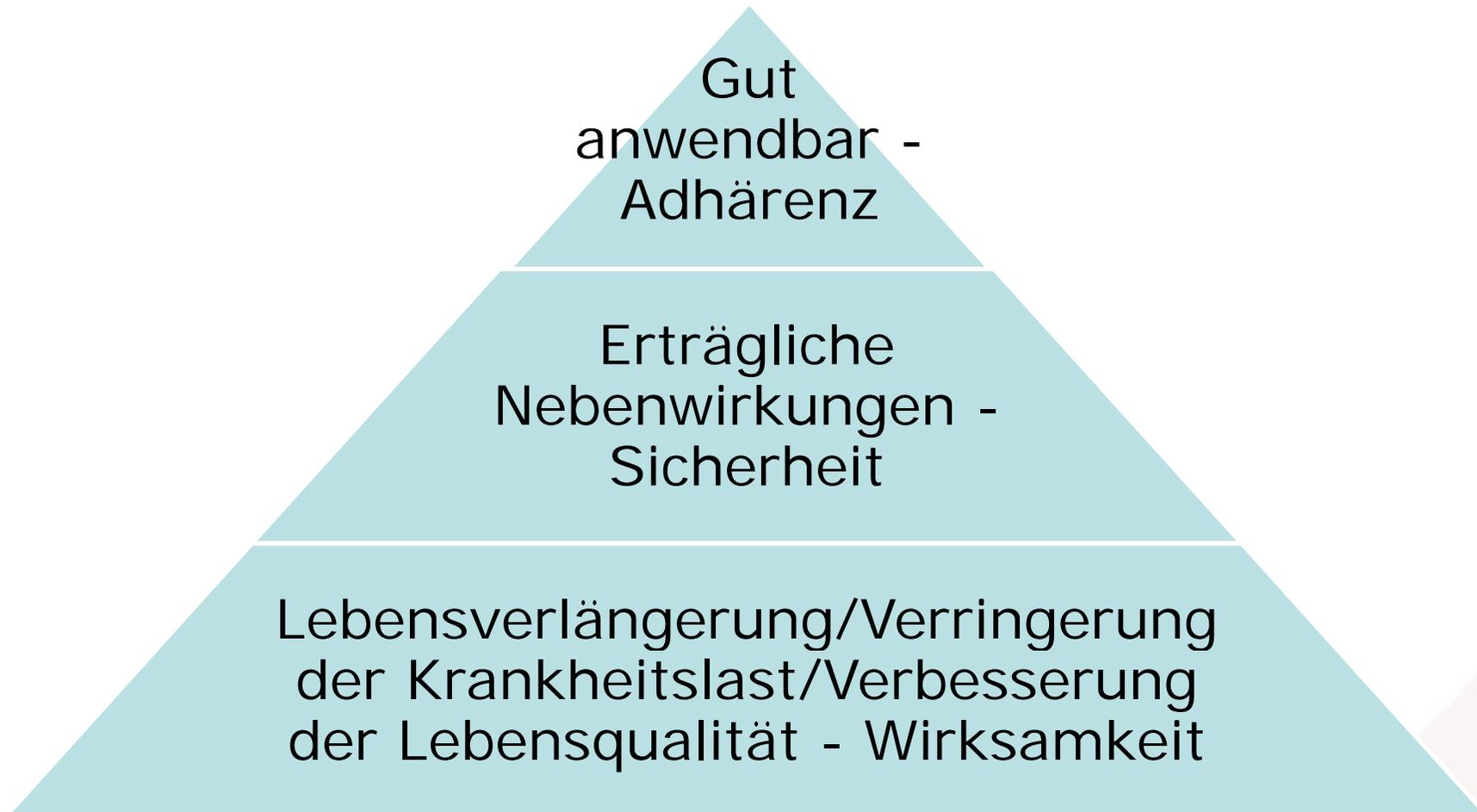
Anforderungen an eine patientenfreundliche Information über Arzneimittel

- Aktueller Stand des Wissens
- Wissenschaftlich korrekt
- Vollständig
- Neutral bzw. transparent
- Evidenz-basiert
- Verlässlich und nachprüfbar
- Verständlich, barrierefrei

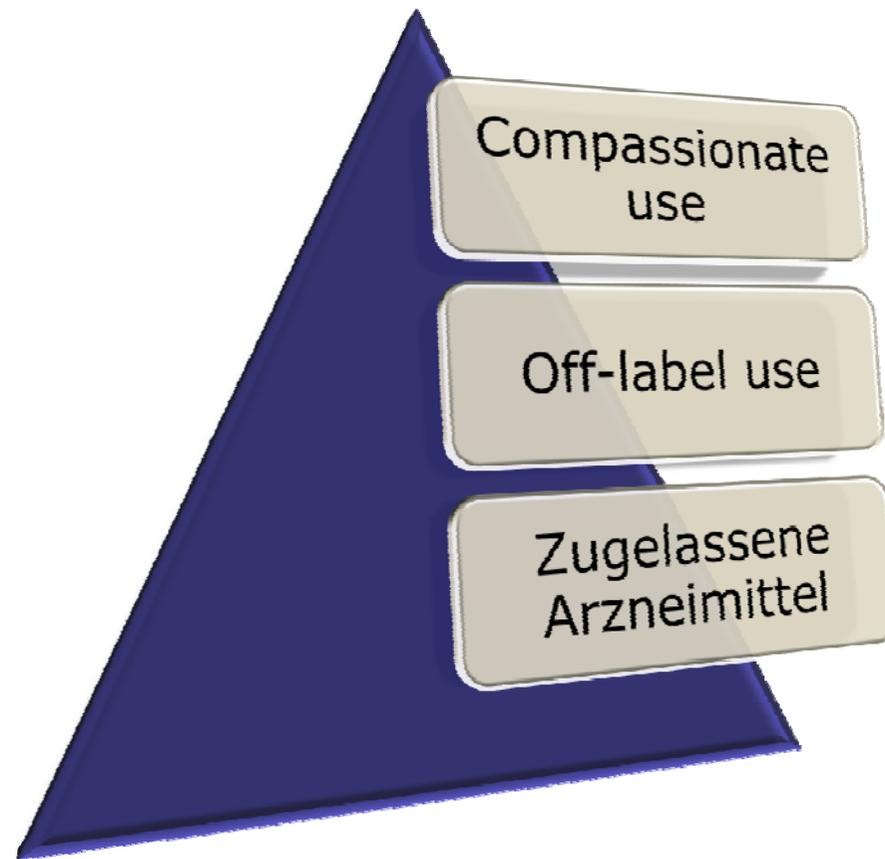
Vollständige Information erlaubt Bewertung relativ zu anderen Optionen



Arzneimittel – nicht nur bei seltenen Erkrankungen: Bedürfnisse



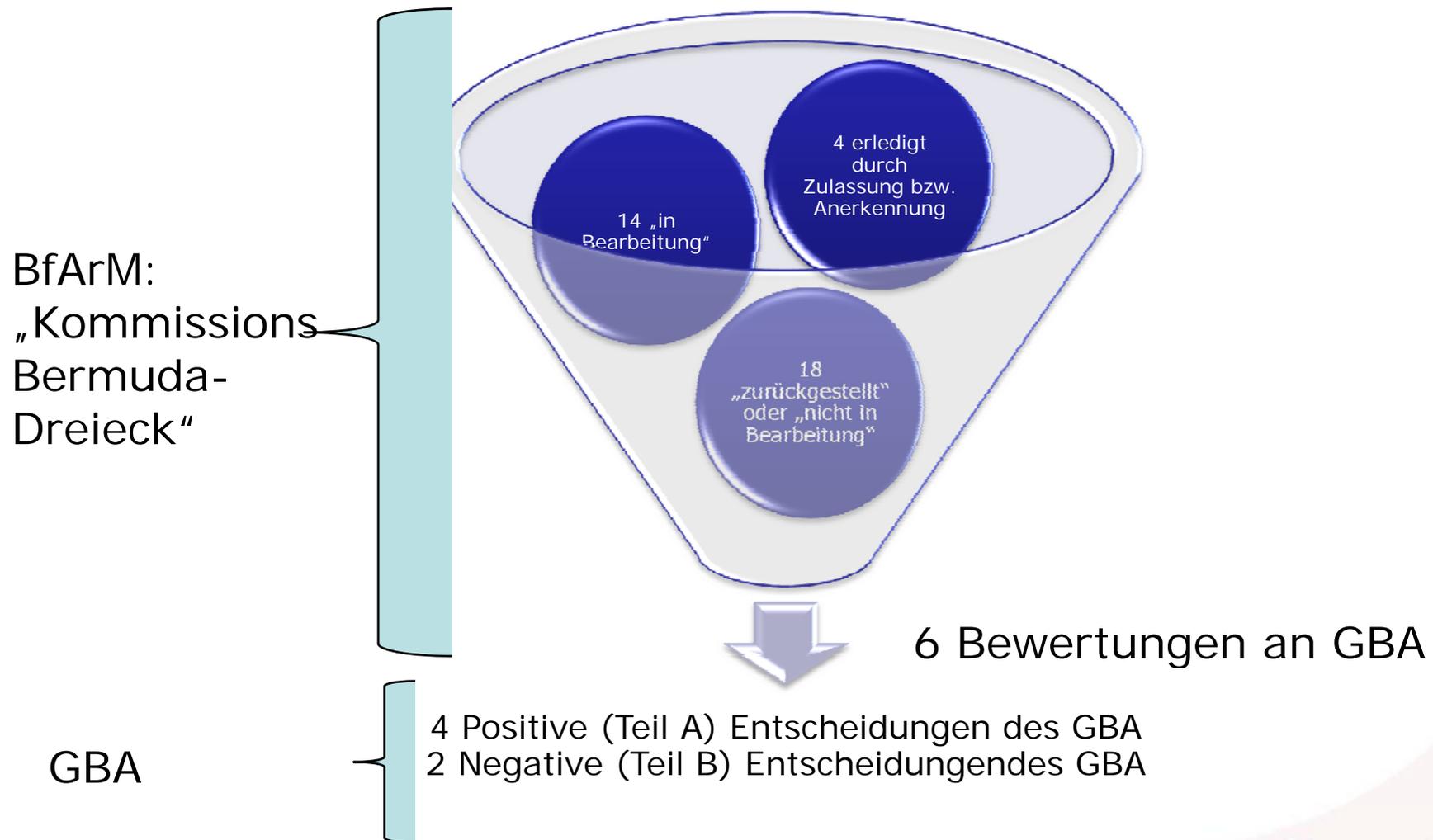
Zugang gesichert nur durch Zulassung!



Brauchen Patienten off-label use?

- Ja, denn
 - Nicht für jede schwerwiegende Erkrankung stehen zugelassene Arzneimittel zur Verfügung
 - Bei lebensbedrohlichen Erkrankungen oder solchen, die zu einer progredienten Verschlechterung tendieren, darf keine Zeit verloren werden
 - Auch bei nicht progredienten Erkrankungen führen verlorene Therapiechancen zu einer Verminderung der Lebensqualität

Was von 2002 bis 2009 aus 42 off-label Bewertungsaufträgen geworden ist...



Grundsätzliche Bedenken

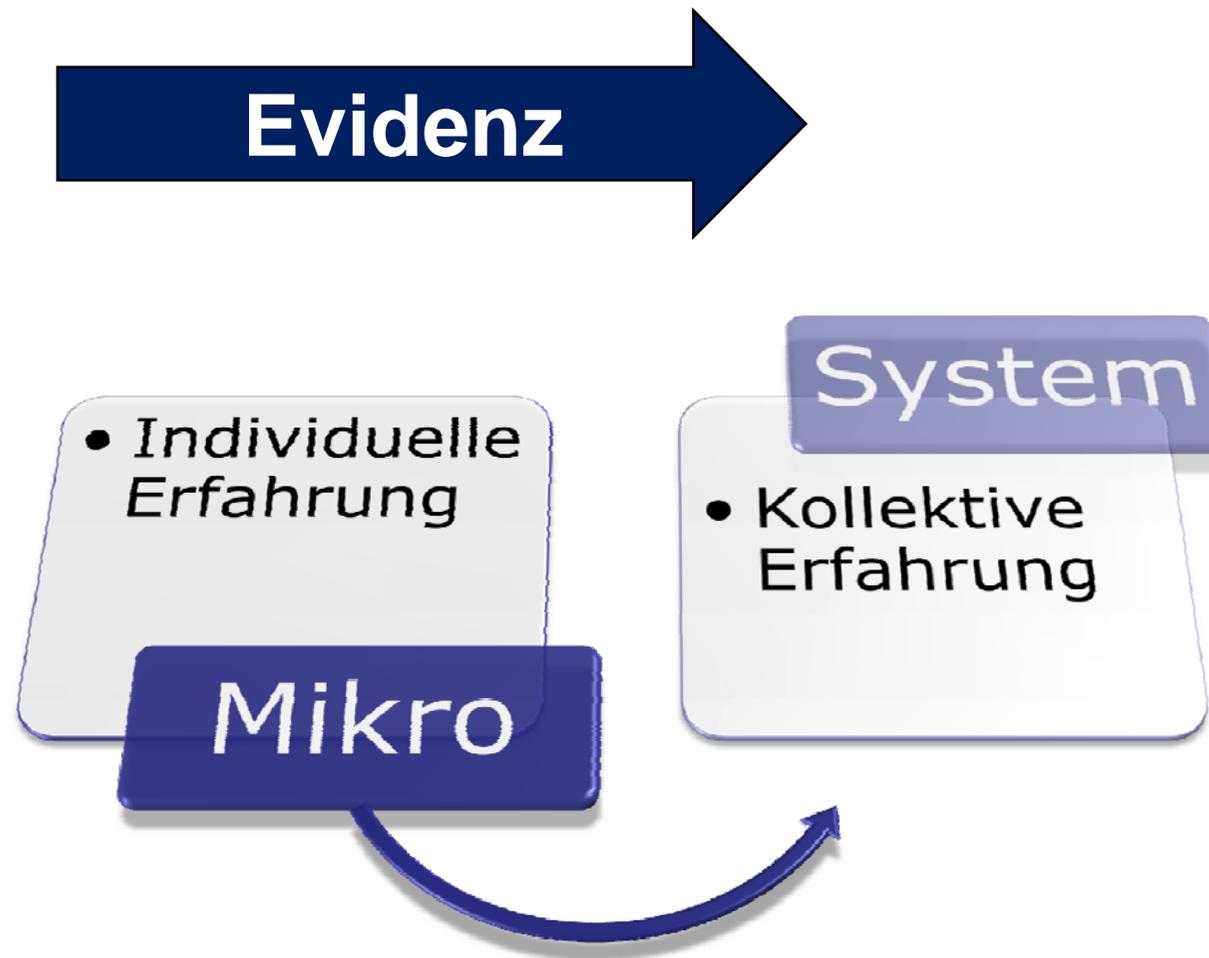
- Off-label use darf weder zur „Zulassung durch die Hintertür“ noch zum „Marktzugang light“ werden
- Pharmazeutische Industrie muss sich tatsächlich ihrer Verantwortung stellen, will sie den Anspruch verwirklichen „innovative“ Arzneimittel für dringende medizinische Bedürfnisse zur Verfügung zu stellen

Bei welcher Erkrankung off-label möglich?

Schwere der Erkrankung	Off-label use zu Lasten GKV
Keine schwerwiegende Erkrankung	Nein
Schwerwiegende Erkrankung	Ja, bei begründeten Erfolgsaussichten
Lebensbedrohliche Erkrankung	Ja, auch bei nur geringer Erfolgsaussicht

In Anlehnung an Wille und Koch (2007)

„Missing Link“

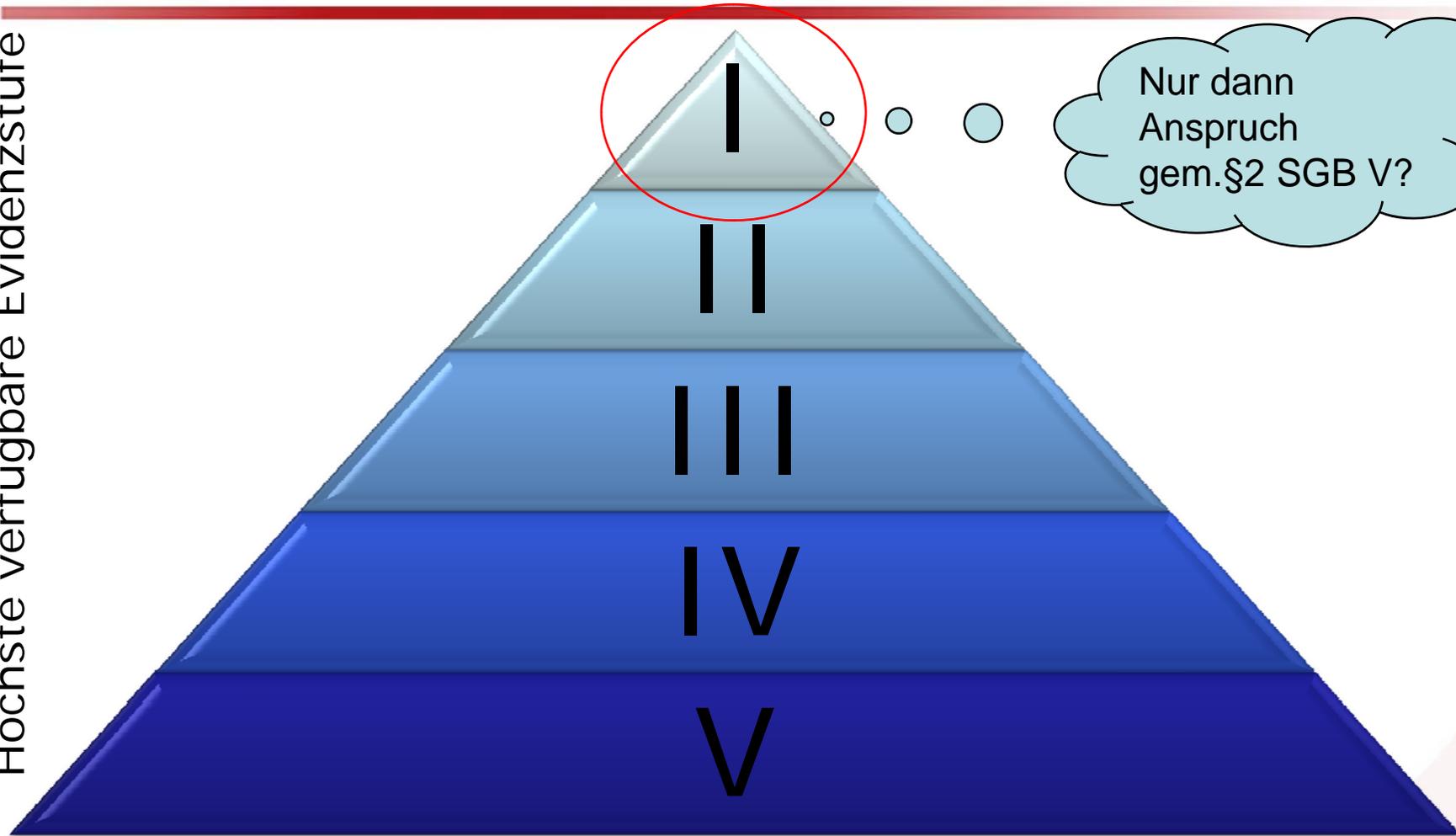


Evidenzhierarchie des GBA

Evidenzstufe	Beschreibung
Ia	Systematische Übersichtsarbeiten von Ib-Studien
Ib	Randomisierte klinische Studien
IIa	Systematische Übersichtsarbeiten von IIb-Studien
IIb	Prospektive vergleichende Kohortenstudien
III	Retrospektive vergleichende Studien
IV	Fallserien und andere nicht vergleichende Studien
V	Assoziationsbeobachtungen, pathophysiologische Überlegungen, deskriptive Darstellungen, Einzelfallberichte, nicht mit Studien belegte Meinungen anerkannter Experten, Berichte von Expertenkomitees und Konsensuskonferenzen

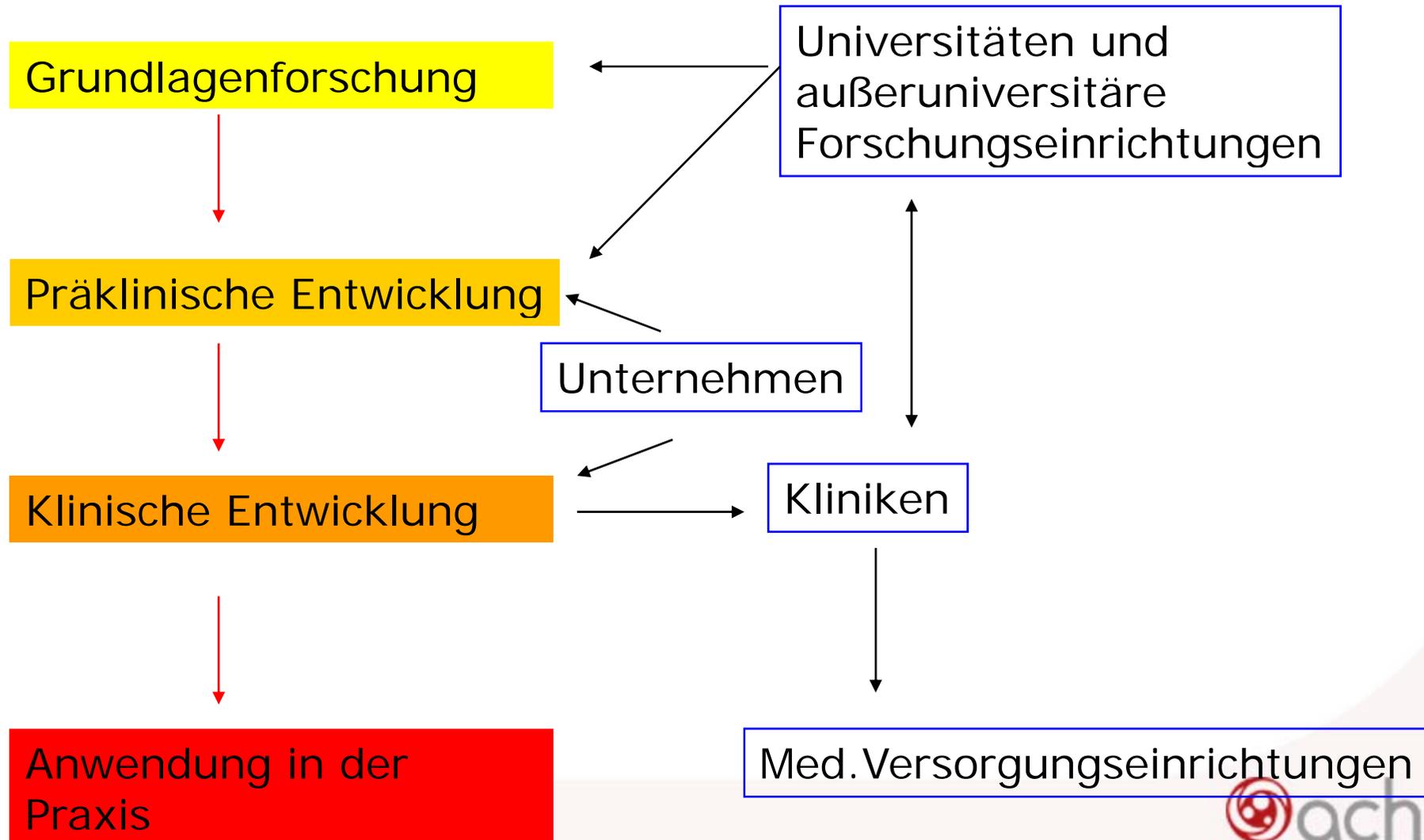
Wer die I nicht hat, den bestraft das Leben?

Höchste verfügbare Evidenzstufe



Anzahl der Seltenen Erkrankungen

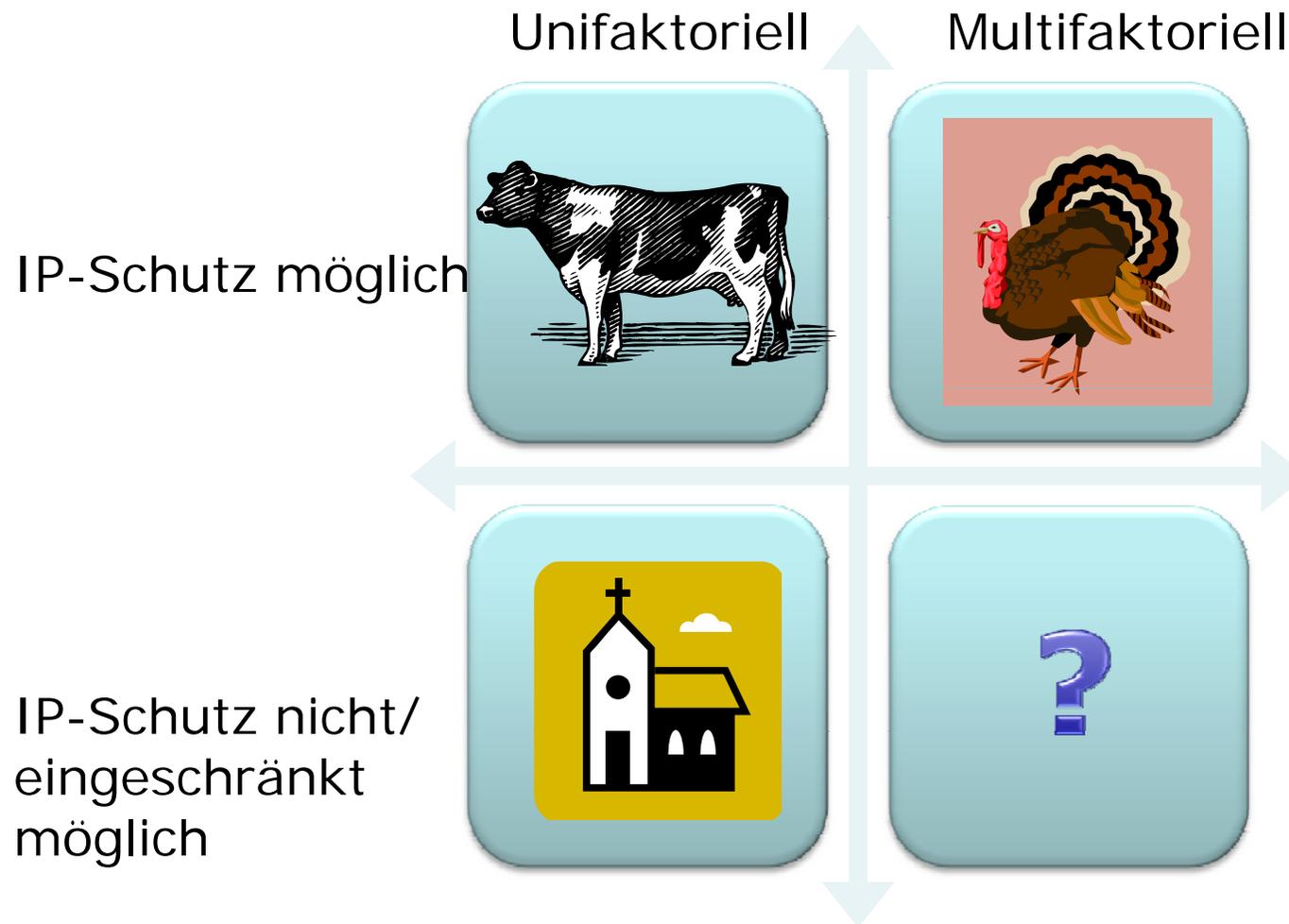
Arzneimittelentwicklung beschleunigen: Patienten haben keine Zeit zu verlieren



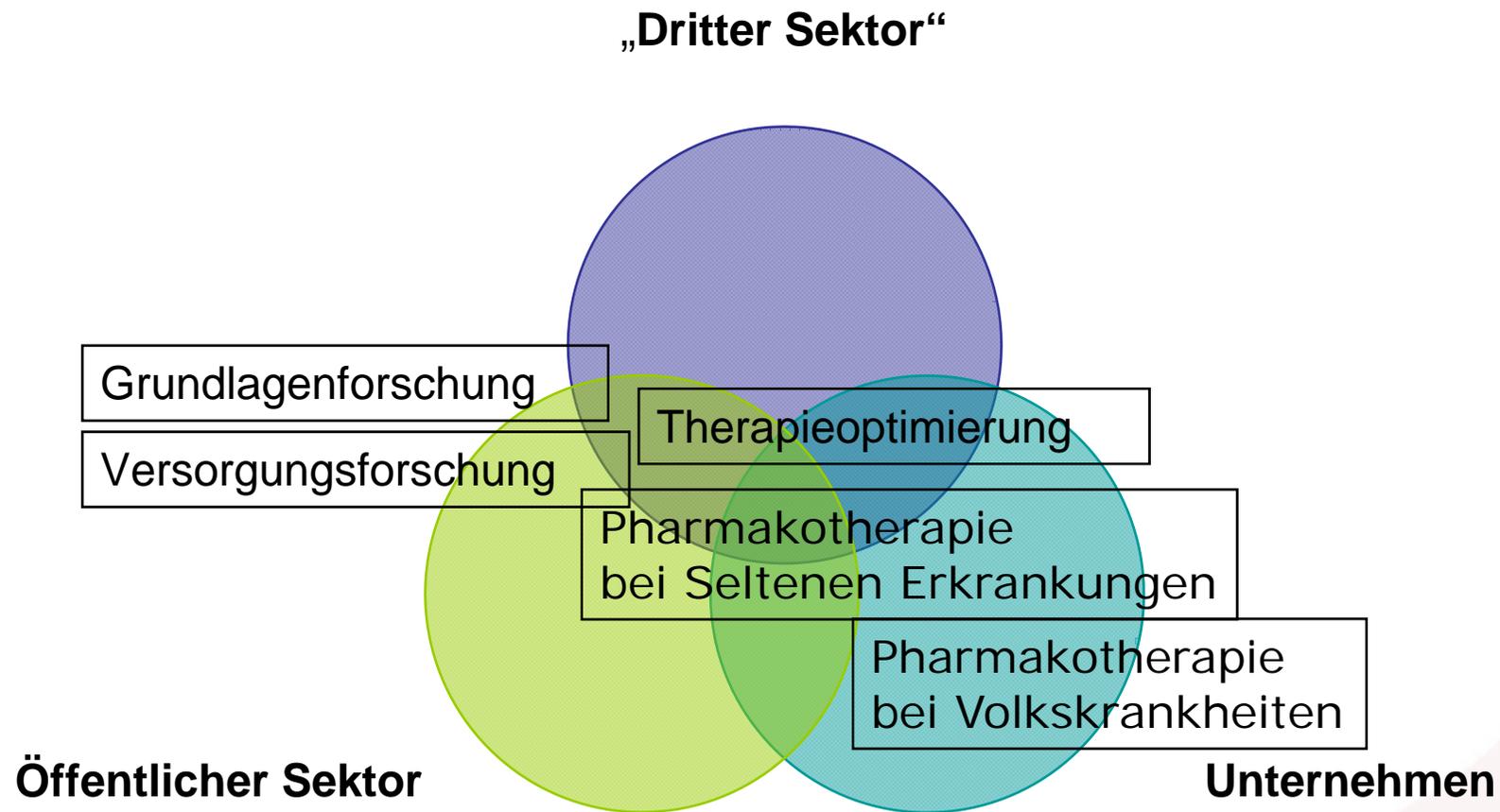
Warum fehlt hochwertige Evidenz bei seltenen Erkrankungen ?

- Seltenheit der Erkrankung
 - Fehlende Grundlagenkenntnisse
 - Fehlende (pharmakotherapeutische) Ansatzpunkte
 - Methodische Probleme (Statistik, Vergleichsbehandlung)
 - Rekrutierungsschwierigkeiten (Verstreutheit der Patienten, Konkurrenz zwischen den Studien)
 - Fehlende Patientenorganisation
- Ökonomische Gründe
- ...und in deren Folge:
organisatorisches Versagen

Seltene Erkrankungen und ökonomisches Interesse



Kooperationen dringend erforderlich



Lösungsansätze I

- Schaffung hochwertiger Evidenz:
 - Finanzielle und organisatorische Unterstützung von Non-Profit-Organisationen bei der Durchführung von RCTs und evtl. Zulassungsverfahren
 - Entwicklungsbürgschaften an Unternehmen verbunden mit Preiszusagen für die Vermarktungsphase

Lösungsansätze II

- Schaffung höherwertiger Evidenz:
 - Evidenzgenerierende Dokumentation und systematische Erfassung (z.B. mit Hilfe erweiterten Patientenregistern)
 - Einbeziehung von Patientenwissen und dessen systematischer Auswertung

Beiträge der Patienten zur Arzneimittelentwicklung

Problem mitteilen

Aufmerksamkeit in der Wissenschaft wecken

Unternehmen interessieren

Sich an Forschung beteiligen

Erfahrungen teilen

Selbsthilfegetragene Forschungsbeteiligung

Organisationstyp	Merkmale	Rolle in der Forschung
Selbsthilfegruppen	Lokal, Keine Hauptamtlichen	Überwiegend passiv: Patienteninformation (Rekrutierung!) über laufende Studien
Selbsthilfeorganisationen	Überregional, teilweise mit Hauptamtlichen für Teilaufgaben	s.o. plus: Beteiligung an Designdiskussionen, finanzielle Unterstützung von IITs
Patientenorganisationen	Überregional, Hauptamtliche, qualifizierte Mitarbeiter	s.o. plus: Aktive Beteiligung an Forschungskonsortien (z.B. Antragsstellung), Sponsor klinischer Studien i.S. AMG

Forschungsbeteiligung von Patientenorganisationen

■ Inhaltliche Beteiligung

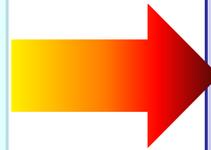
- Zielsetzung
- Prüfplan
- Organisation
- Rekrutierung
- Durchführung
- Ergebnisse und Kommunikation

■ Organisation

- Finanzierung
- Sponsoreneigenschaft gem.AMG
- Beteiligung an Patientenregistern

Patientenregister: Warum?

- Epidemiologische Information
 - Prävalenz
 - Inzidenz
- Demographische Inf.
- Genetik
- Wege zur Diagnose
- Versorgungsformen/orte
- Gesundheitsstatus
- Behandlungspfad
- Therapieergebnisse



- Wissenschaft
- Erkenntnisse über den "natürlichen Verlauf"
- Verbesserung der Organisationsformen
- Verbesserung der Versorgung
- Identifizierung des medizinischen Bedarfs

Rolle der Selbsthilfe bei Patientenregistern

- Motivation und Information von Patienten
- Beiträge zu der Gestaltung des Registers (Umfang, Regelwerk)
- Organisatorische Unterstützung
- Datenzulieferung für wissenschaftliche und versorgungsrelevante Zwecke
- Finanzielle Unterstützung
- Bewertung der Registerberichte, Beiträge hierzu und Schlußfolgerungen für versorgungsrelevante Fragen

Zum Mitnehmen

- Patienten mit seltenen Erkrankungen brauchen
 - Informationen, die stärkt und nicht verdummt
 - Wirksame und sichere Arzneimittel, die entwickelt und zugelassen sind
- Patienten können
 - bei der Entwicklung von Information helfen
 - Forschung und Entwicklung wirksam unterstützen

Für Rückfragen:

Dr. Andreas L.G.Reimann

0228-98780-12

andreas.reimann@achse-online.de

www.achse-online.de

www.muko.info

VIELEN DANK !