



31. Januar 2013, Versorgungsmanagement: Die Rolle der Pharmaindustrie?

Martina Ochel, Geschäftsführerin Genzyme GmbH, ein Mitglied der Sanofi-Gruppe und stellvertretende Vorsitzende von vfa bio

Die traditionelle Rolle der Pharmaindustrie im Versorgungsmanagement

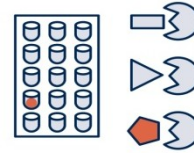
Arzneimittelforschung und -entwicklung



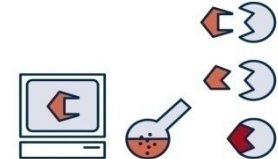
Fokus auf eine Krankheit



Target-identifizierung



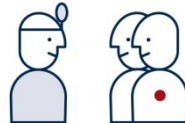
Screening



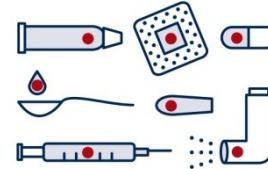
Erfindung eines Wirkstoffkand.



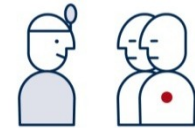
Präklinische Untersuchung



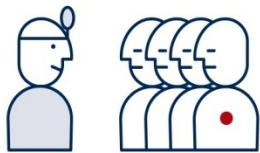
Klinische Phase I



Darreichungsform



Klinische Phase II



Klinische Phase III



Zulassung



Verschreibung, Überwachung

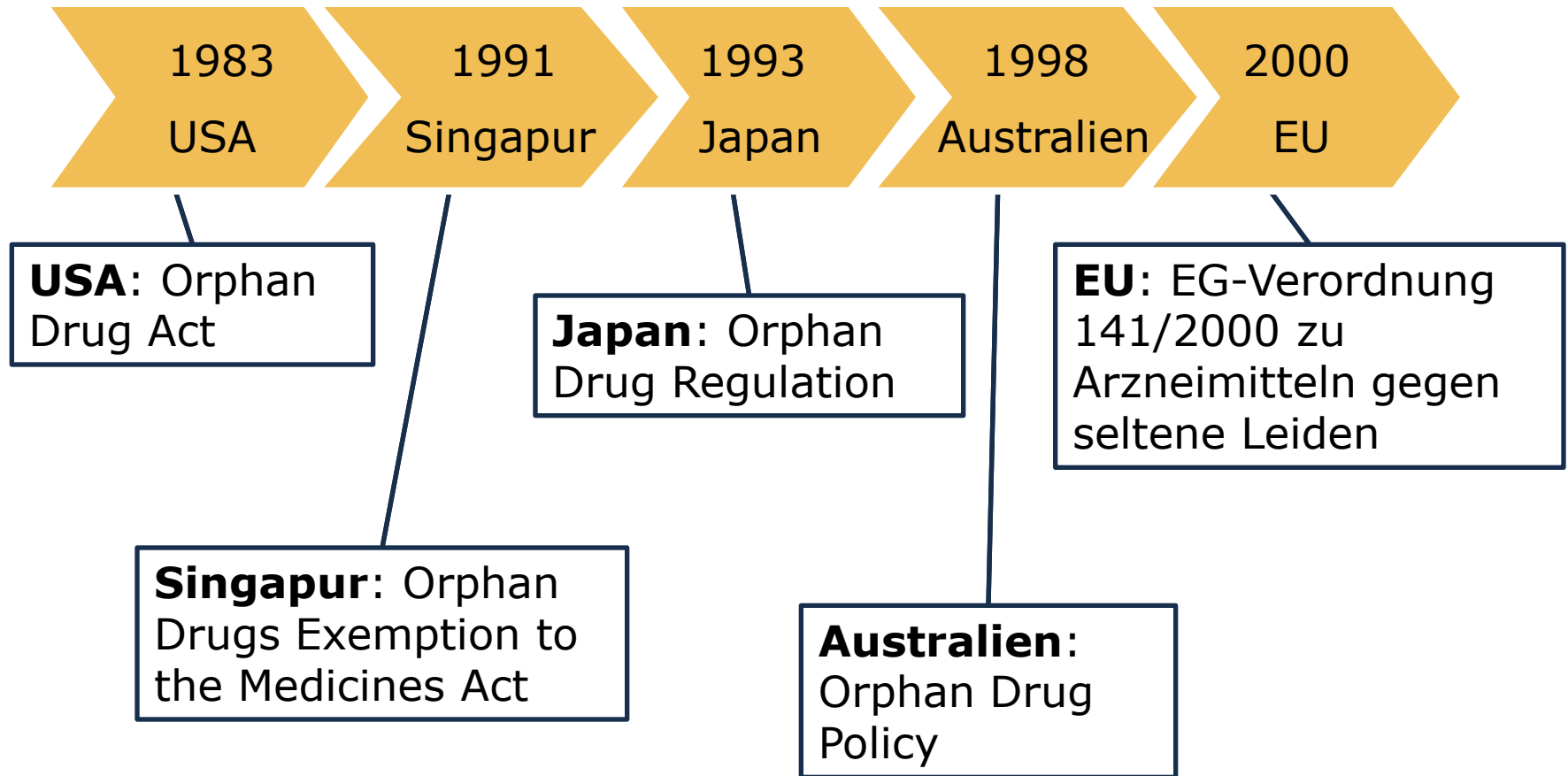


Produktion

Rahmenbedingungen/Herausforderungen bei der Entwicklung von Orphan Drugs

- Patienten mit seltenen Krankheiten haben den gleichen Anspruch auf Linderung und Heilung durch wirksame und unbedenkliche Medikamente wie solche mit häufigen Krankheiten.
- Bei der Entwicklung von Medikamenten gegen seltene Krankheiten (Orphan Drugs) ist meist die Refinanzierung der Forschungs- und Entwicklungskosten unter den üblichen Marktbedingungen nicht möglich.
- Daher haben viele Länder spezielle Gesetzgebungen eingeführt, mit denen die Entwicklung von Arzneimitteln zur Diagnose, Vorbeugung oder Therapie seltener Krankheiten gefördert wird.

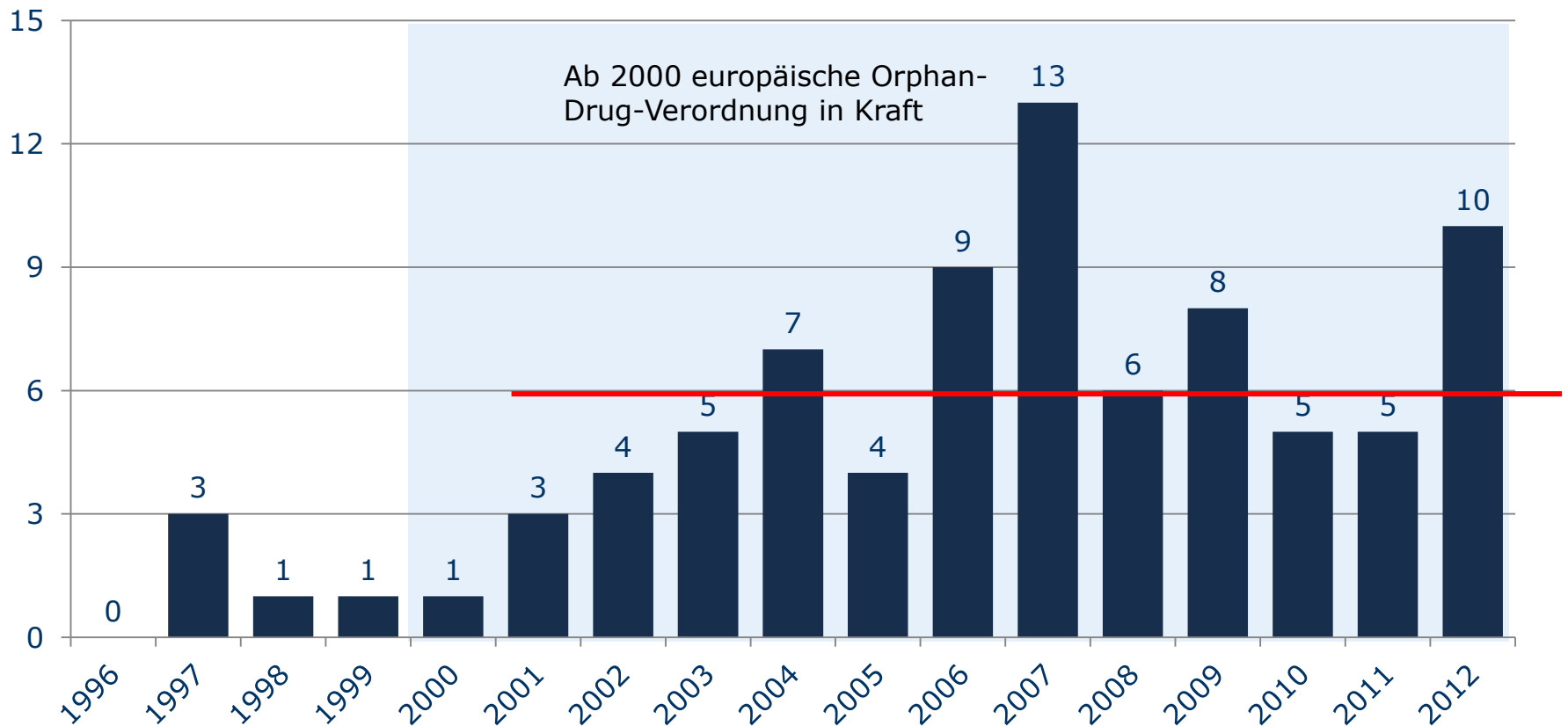
Spezielle Orphan-Gesetzgebungen



Was haben wir erreicht?

Zulassungen für Medikamente* gegen seltene Krankheiten in der EU

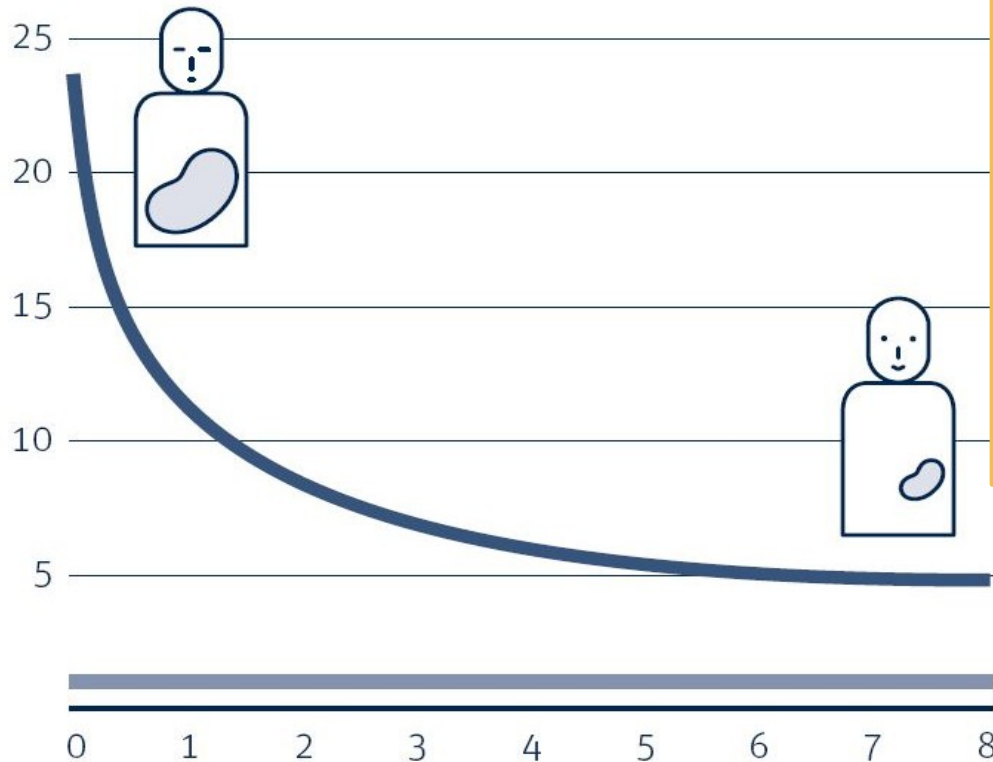
Seltene Krankheiten betreffen nicht mehr als 1 von 2.000 Menschen in der EU



Stand: Dezember 2012; * einige dieser Medikamente sind für die Therapie mehrerer seltener Krankheiten zugelassen. Anmerkung: Diagramm umfasst auch Medikamente, die inzwischen keinen Orphan Drug-Status mehr haben oder vom Markt genommen worden sind

Erfolg durch Enzymtherapie bei Patienten mit Morbus Gaucher

Vielfaches der Normalgröße



Quelle: privat



Milzvolumen der Patienten
(Mittelwert)

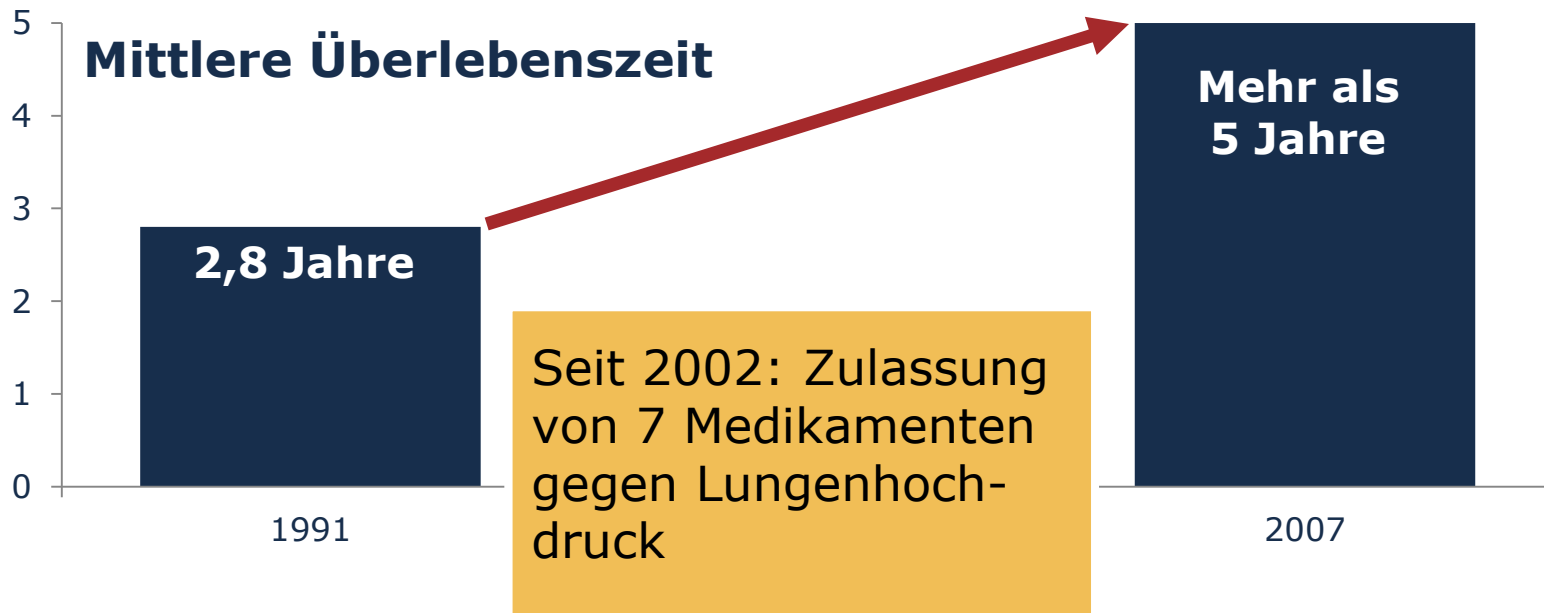
Normalgröße der Milz

Behandlung (Jahre)

Grafik in Anlehnung an: Andersson, H., et al.: *Paediatrics* 122, 1182–1189 (2008).

Fortschritte bei Lungenhochdruck

- Ca. 5.000 Patienten in Deutschland
- Früher sehr schlechte Prognose; nur unspezifische Behandlung möglich
- Inzwischen ist eine Reihe von spezifischen Therapien verfügbar



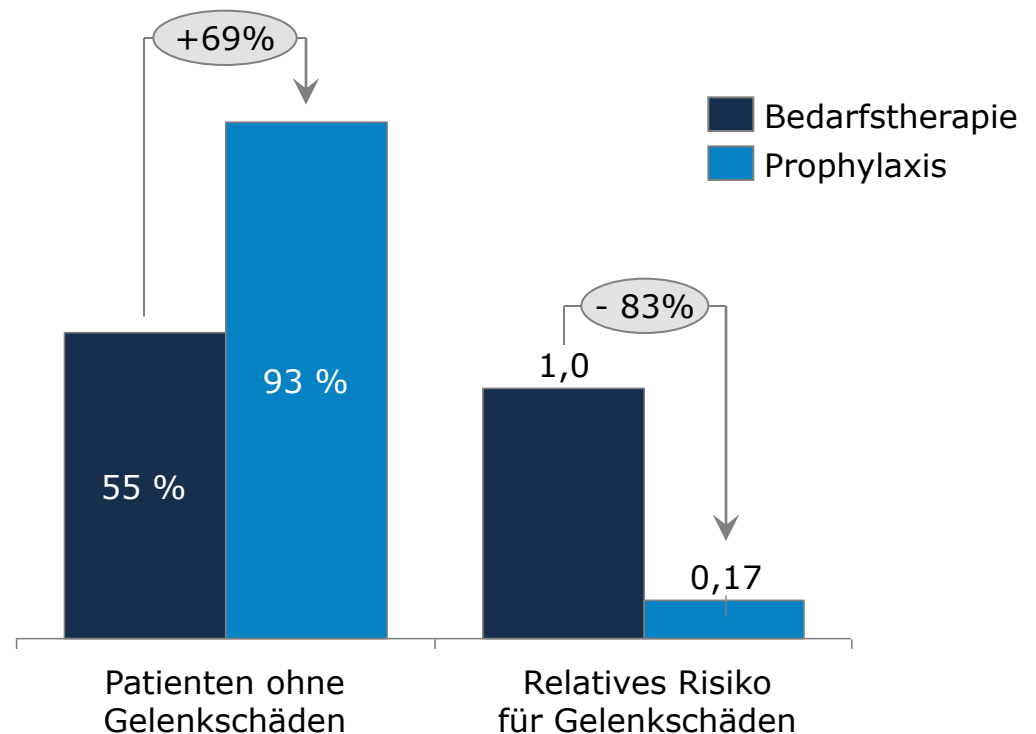
Quelle: Ghofrani 2007; Benza, Eur Heart J 2011, Vol. 32 (Abstract Supplement S. 676), Abstract Nr. 3939; vfa

Hämophilie: Fortschritte durch Therapie mit Gerinnungsfaktoren

Patient ohne Therapie



Prophylaktische Therapie verbessert Gelenkstruktur und vermeidet Gelenkschäden



Quelle: links: Bayer Schering Pharma; rechts: Abbildung basierend auf Manco-Johnson et al., N Engl J Med 2007; „Medizinische Biotechnologie in Deutschland 2010“ | BCG / vfa bio

Besondere Herausforderungen bei Seltenen Erkrankungen und Orphan Drugs

Besondere Herausforderungen bei der Erforschung seltener Krankheiten

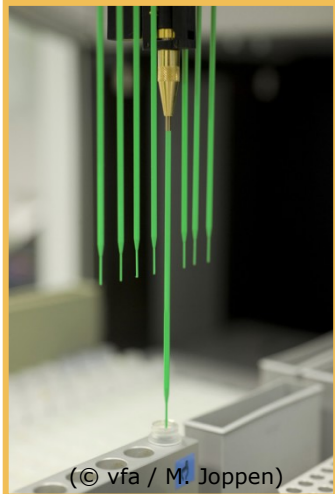
- (Sehr) kleine Patientenzahlen, auch wegen schwieriger Diagnose
- Die wenigen Patienten sind geographisch weit verteilt
- Expertenwissen ist geographisch weit verteilt – wenige Wissenschaftler arbeiten an einer spezifischen seltenen Erkrankung

Das hat zur Konsequenz:

- Wenige epidemiologische Daten
- Wenig Wissen über Krankheitsverläufe
- Wenige Studien und Literatur zu
 - therapeutischen Interventionen
 - Lebensqualität
 - gesundheitsökonomischen Parametern
- Keine speziellen Versorgungsstrukturen

Eine erweiterte Rolle im Versorgungsmanagement für die Pharmaindustrie

Engagement der Pharmaindustrie auf dem Gebiet der Seltenen Erkrankungen



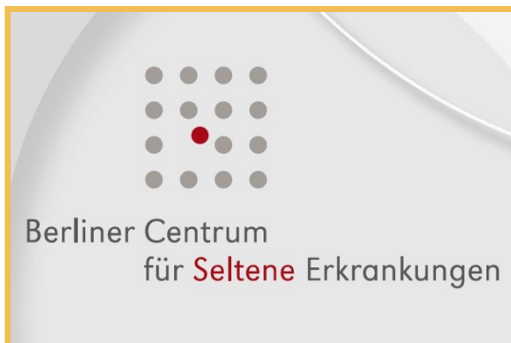
Forschung & Entwicklung



Klinische Studien



Registeraktivitäten



Zusammenarbeit
mit Zentren



Aufklärung bei Ärzten
und Betroffenen



Versorgungs-
management

Beispiele aus der Pharmaindustrie im Versorgungsmanagement

- Fragiles X-Syndrom Registerstudie (Novartis)
- EUR IPF Registry (Intermune)
- Coaching Projekt (Genzyme)
- Schmerzprojekt Morbus Fabry (Genzyme)

- Erfassung epidemiologischer Daten zum Fragilen-X-Syndrom (FRX) in Deutschland und anderen europäischen Ländern.
- Charakterisierung von FRX-Phenotypen (physiologisch und psychologisch)
- Beschreibung von Patienten-Charakteristika
 - Demographie, Familiengeschichte, Komorbiditäten, Bildungsniveau, Arbeits-Situation, Soziale und medizinische Versorgung, Versicherungsstatus
- Erfassung von therapeutischen Interventionen (medizinisch und nicht-medizinisch) und deren Indikationsstellung
- Erfassung psychosozialer Parameter
- Einschätzung der Lebensqualität der Familien / Betreuer und soweit möglich auch der Menschen mit FRX
- Zusammenstellung von gesundheitsökonomischen Parametern und dem Ausmaß der Nutzung des Gesundheitswesens

Kennzahlen und Merkmale

- Zeitrahmen: vom Oktober 2012 bis Januar 2016 (möglicherweise Verlängerung)
- Datenerfassung / Visite : alle 6 Monate
- Teilnehmer:
 - jeden Alters und Geschlechts
 - Einwilligung der Teilnehmer oder deren gesetzlicher Vertreter
 - Einschlusskriterium: durch Gentest bestätigte Diagnose
 - 300 Teilnehmer in Deutschland verteilt auf mindestens 50 Zentren

- Demographie
- „Medical history“ (medizinische und nicht-medizinische Therapien)
- Neurologische Prüfung und Vitalparameter
- Symptom-Checkliste
- FXS-Diagnose (Datum, CGG-Repeats, Methylierungsgrad)
- Versicherungsstatus *)
- Familiengeschichte (inkl. FRX-Behinderung), elterliche Erziehung
- Schule und Bildung *)
- Inanspruchnahme von Leistungen des Gesundheitswesens
- Psychometrische Tests
- Lebensqualität (Teilnehmer und deren Familien)

*) landesspezifische Anpassungen in EU-Ländern notwendig

Advancing IPF Research

The Mission Statement from the eurIPFreg is:

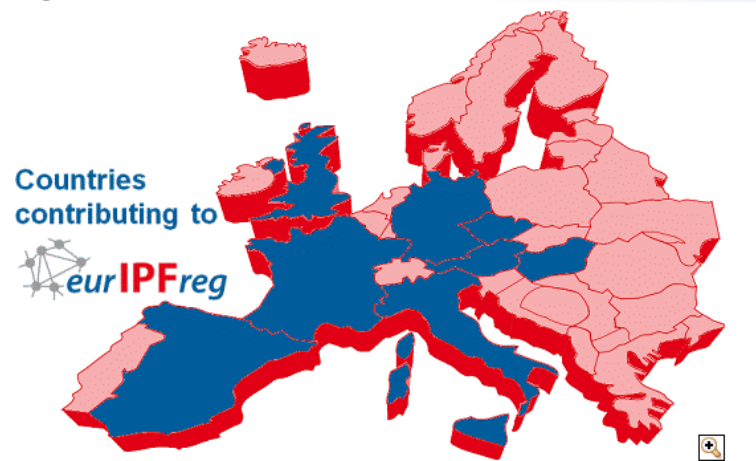
“Fighting for improved survival in Idiopathic Pulmonary Fibrosis”

Die InterMune GmbH ist ein Forschungspartner für das eurIPFreg und unterstützt deren Mission Statement.

EUR IPF Registry

- Project born out of the EU 7th Framework Programme funded project European IPF Network (eurIPFnet)
- The eurIPFreg is Europe's leading database of data from IPF patients, including control groups of patients with other lung diseases.
- The registry will be creating a permanent and growing record of well defined data on IPF in Europe
- This data will increase the chances of finding better treatment options for this devastating disease

IPF = Idiopathic pulmonary fibrosis
<http://www.pulmonary-fibrosis.net/>





LysoSolutions®

Ihr Partner bei lysosomalen
Speicherkrankheiten



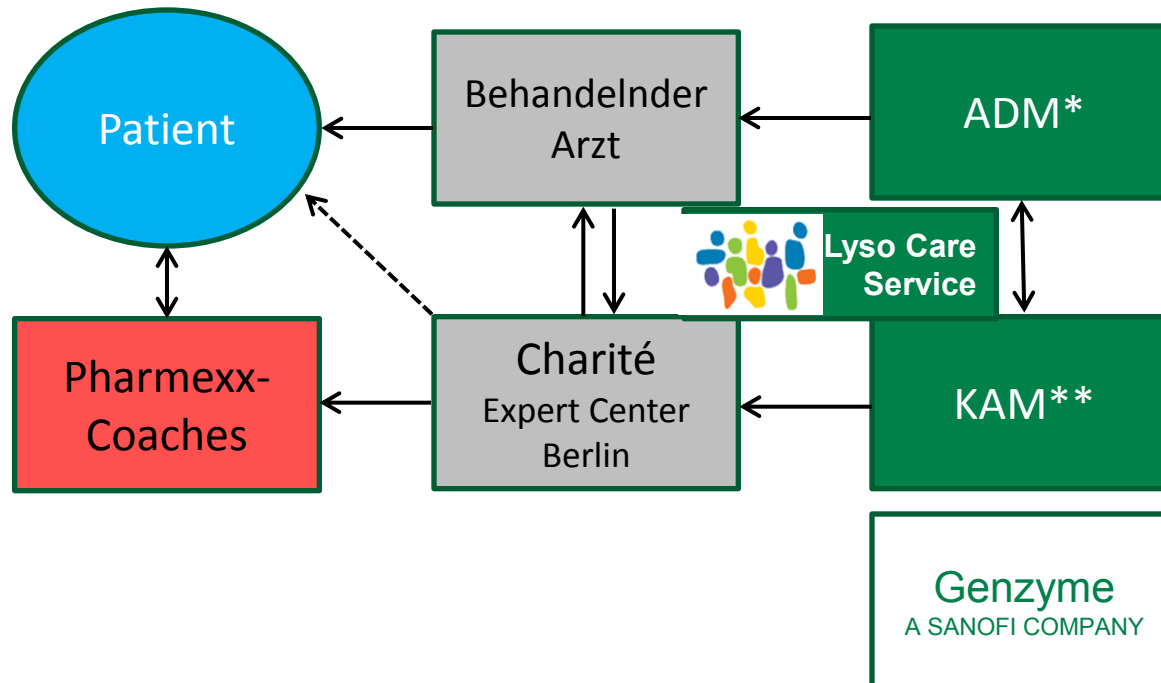
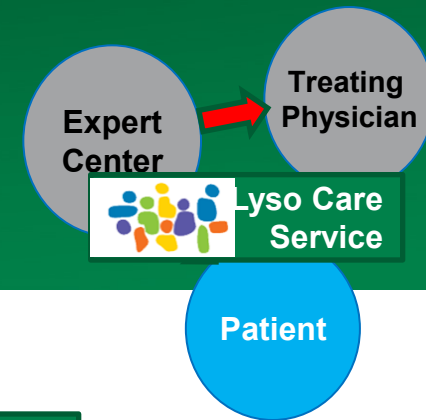
Verbesserung der Versorgung von Patienten mit lysosomalen Speicherkrankheiten in der Alltagsituation

➤ Coaching Projekt in Kooperation mit der Charité

Mit wegweisenden Therapien komplexen Erkrankungen begegnen.

genzyme
A SANOFI COMPANY

Pilotprojekt Charité Berlin

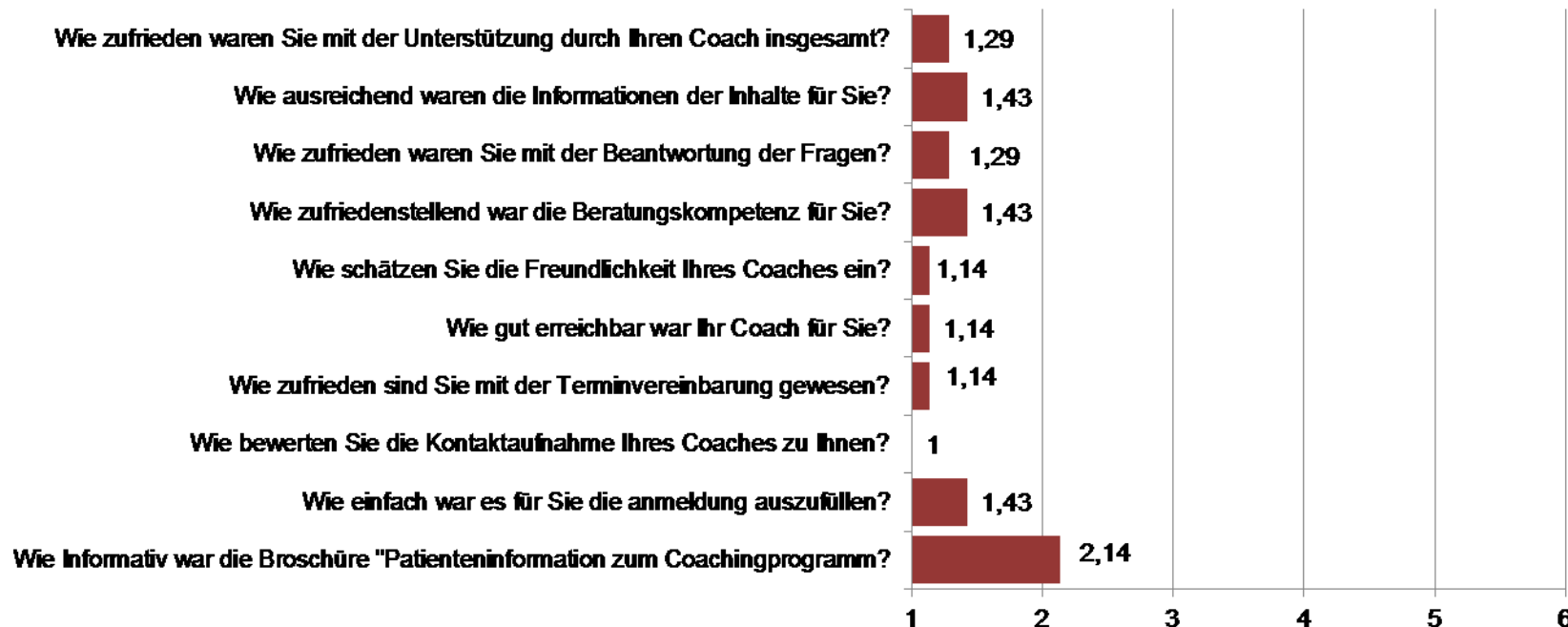


* Außendienstmitarbeiter
** Key Account Manager

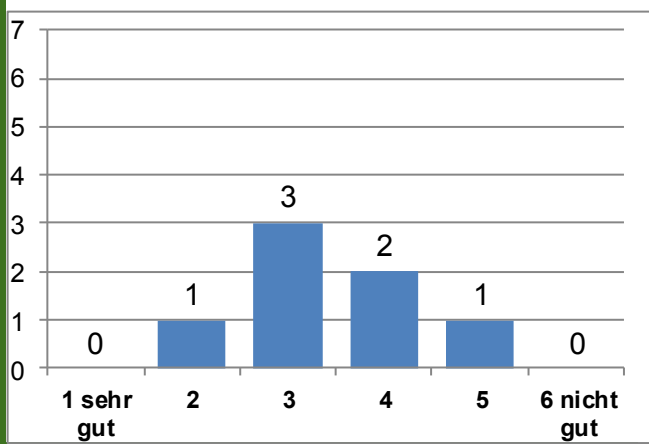
LysoCare®-Coachingprogramm (Pilotprojekt)
7 Teilnehmer - 2 Gaucher und 5 Fabry Patienten (Durchschnittsalter 56)

Basis
Schulnote 1 = sehr gut – Schulnote 6 = nicht gut

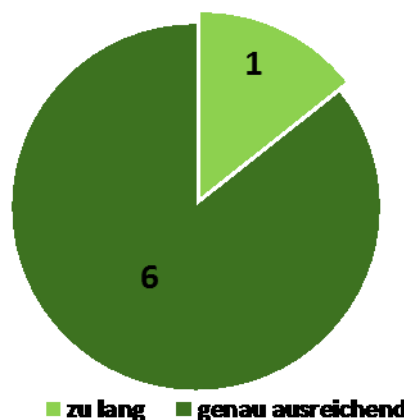
1



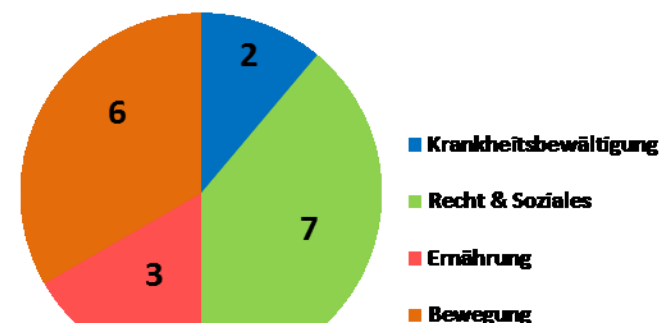
Wie einfach war für Sie den Kalender anzuwenden?



Wie bewerten Sie die Dauer des Coach Besuchs?



Welche Themen des LysoCare®-Coachingprogrammes waren von Nutzen für Sie?



Kommentare zum LysoCare®- Coachingprogramm von den Teilnehmern

Wie oft wünschen Sie sich einen Besuch von Ihrem (einen) Coach?

- alle 4 Wochen
- 1 x Monat
- Ca. 6 Wochen
- 4 x Jahr

Welche Themen wären noch interessant für Sie?

- Erhaltung der Lebensqualität
- Intensiver auf die Psyche eingehen
- Umgang mit der Erkrankung, Therapie und Symptome
- Alltagsorganisation
- Familienplanung für meine Söhne

Welche Anregungen zur Verbesserung des LysoCare®-Coachingprogramms hätten Sie?

- Organisation der Anmeldung sollte besser funktionieren
- Hilfe bei Behörden, Krankenkassen und Anträgen
- Mehr Zeit für den Kontakt
- Ich finde, dass es nicht ausreichend ist, 4 x wöchentlich die Eintragungen im Fragebogen zu machen, sondern täglich

Wie sinnvoll fanden Sie das Coachingprogramm und würden Sie weiterhin daran teilnehmen?

- Für neue Patienten gut, für Patienten, die schon länger das Medikament erhalten nicht so sehr. Ich würde nicht weiter teilnehmen
- Man erhält Anregungen, ich würde weiterhin teilnehmen
- Sehr sinnvoll

**die Gesamtnote 1,72
setzt sich aus den Diagrammen 1,2,3 zusammen**

**Das Pilotprojekt hat gezeigt, dass das Coachingprogramm
für jeden Patienten sehr individuell ist.
90 % der Teilnehmer würden weiterhin teilnehmen wollen!**



LysoSolutions®

Ihr Partner bei lysosomalen
Speicherkrankheiten



Uni Münster



Uni Würzburg



Charité



Uni Kiel

Verbesserung der Versorgung von Patienten
mit lysosomalen Speicherkrankheiten in der
Alltagsituation

- Kooperation ‚Schmerz beim Morbus Fabry‘ mit den
Unikliniken Würzburg, Münster, Berlin und Kiel

Mit wegweisenden Therapien komplexen Erkrankungen begegnen.

genzyme
A SANOFI COMPANY

Ausgangssituation

- **Morbus Fabry Patienten haben häufig lebenslange Schmerzattacken.**
- **In der Regel fehlen Schmerzanamnese und eine Schmerztypisierung.**
- **Fabry Patienten nehmen häufig gar keine oder Schmerzmedikamente, die ein Voranschreiten der Organscheiden beschleunigen können (z.B. NSAR* kritisch bei bereits geschädigter Niere).**

Ziel des Expertenaustausches war die Erarbeitung von Behandlungsvorschlägen, die in der Praxis umsetzbar sind!

* nichtsteroidale Antirheumatika

Kooperation ‚Schmerztherapie bei Morbus Fabry‘

C. Sommer, N. Ücel, D. Duning, K. Arning, R. Baron, E. Brandt, S. Canaan-Kühl, M. Hilz, D. Naleschinski, C. Wanner, F. Weidemann – Der Internist 01/13

Erarbeitung von aktuellen Behandlungsvorschlägen:

- **Systematische Schmerzanamnese bei M. Fabry**
- **Manifestationstypen des Fabry-Schmerzes**
- **Fallbeispiele**
- **Tipps für die Co-Medikation des Schmerzes beim Fabry Patienten (kardiologische und nephrologische Aspekte)**
- **Fazit für die Praxis**

Wo sollten Ergebnisse aus diesen Projekten ihren Niederschlag finden?

- In patientenorientierter Arzneimittelentwicklung
- In verbesserter Patientenversorgung
- In weiterführenden Projekten zwischen Akademie und Industrie
- Im nationalen Aktionsplan für Menschen mit seltenen Erkrankungen

Ausblick und Fazit

Fazit

- In der Rolle des „Arzneimittelentwicklers“ leistet die forschende Pharmaindustrie für die Versorgung von Menschen mit seltenen Erkrankungen einen wichtigen Beitrag
- Die besonderen Herausforderungen in diesem Umfeld machen eine enge Zusammenarbeit aller Beteiligten notwendig
- Dies hat zu einer Ausweitung der Rolle der Pharmaindustrie im Versorgungsmanagement geführt
- Die forschende Pharmaindustrie unterstützt das Nationale Aktionsbündnis für Menschen mit Seltenen Erkrankungen (NAMSE) und die Entwicklung eines nationalen Aktionsplans für Menschen mit Seltenen Erkrankungen



VIELEN DANK FÜR IHRE
AUFMERKSAMKEIT! Fragen?