

Ungedeckter medizinischer Bedarf: Umfassende Definition sichert innovative Patientenversorgung

Aktuell werden die EU-Arzneimittelvorschriften überarbeitet. Die EU-Kommission will die Entwicklung von neuen Therapien verstärkt am ungedeckten medizinischen Bedarf ausrichten. Dafür sollen eine engere Definition und ein zusätzlicher „hoher ungedeckter medizinischer Bedarf“ im gesetzlichen Rahmen eingefügt und mit regulatorischen Schutzrechten verknüpft werden. Die Bestimmungen wirken zum Nachteil von Patienten, denn sie reduzieren die Anreize für Forschung und Entwicklung und behindern so wichtige Innovationen, insbesondere Schrittinnovationen. Die Definition des ungedeckten medizinischen Bedarfs sollte einen umfassenden Ansatz ohne zusätzliche Abstufungen verfolgen, um dem breiten Spektrum des ungedeckten medizinischen Bedarfs der Patienten gerecht zu werden. Es sollten mehr Anreize für Forschung und Entwicklung und nicht Einschränkungen geschaffen werden, um Innovationen in Europa zu fördern.

Im Mittelpunkt des Strebens forschender Pharma-Unternehmen steht die Entwicklung innovativer Medikamente, die einen bislang ungedeckten medizinischen Bedarf adressieren. Patienten mit lebensbedrohlichen oder schwer behindernden Erkrankungen kann so geholfen werden, denen bisher keine oder unzureichende Behandlungsmöglichkeiten zur Verfügung stehen. Ein Musterbeispiel hierfür ist der Bereich der seltenen Erkrankungen, wo in etwa 20 Jahren über 200 neue Therapien zugelassen wurden. Aber auch in anderen Bereichen, wie der Onkologie, wurden eine gewaltige Anzahl von neuen Behandlungsmöglichkeiten entwickelt.

Patienten haben sehr individuelle Bedarfe

Patienten haben unterschiedliche Perspektiven auf ihre Erkrankung und ihren ungedeckten medizinischen Bedarf. Patienten mit chronischen Krankheiten definieren ihren Bedarf anders als Menschen, die mit einer lebensbedrohlichen Krankheit konfrontiert sind. Bei chronischen Erkrankungen ist es wichtig, wie sich Arzneimittel in das tägliche

Leben einfügen, einschließlich der Verringerung von Nebenwirkungen. Bei einer unheilbaren Krankheit ist dagegen für viele Patienten die Verlängerung des Lebens wichtiger, bei anderen Patienten haben wiederum die Schmerzfreiheit und Lebensqualität Vorrang. Patienten zeigen demnach ein breites Spektrum von ungedeckten medizinischen Bedarfen, welche nur über eine umfassende Definition abgedeckt werden können.

Ungedeckter Bedarf als Anreizinstrument wird eingeschränkt

Das Konzept des ungedeckten medizinischen Bedarfs soll helfen, dringende Bedarfe der Patienten zu identifizieren und zu priorisieren. Die Einstufung soll Anreize für Forschung und Entwicklung setzen, bspw. in Form von bevorzugtem Zugang zu beschleunigten oder besonderen Zulassungswegen, inkl. für seltene Erkrankungen. Die dort bisher vorhandene, breite Definition des ungedeckten medizinischen Bedarfs hat zu den zurückliegenden Erfolgen beigetragen. Die EU-Kommission will dennoch die Anreize verändern. Dafür

sollen eine engere Definition sowie eine Abstufung eines noch stärker eingeschränkten „hohen“ ungedeckten medizinischen Bedarfs in die europäische Gesetzgebung eingefügt und mit regulatorischen Schutzrechten verknüpft werden.

Eine enge Definition behindert Forschung, Entwicklung und Innovation

Anreize auf der Basis einer engen Definition können Innovationen ausbremsen, indem sie Investitionen in risikoreiche Forschungsbereiche verhindern, die möglicherweise nicht unter die enge Definition des ungedeckten medizinischen Bedarfs fallen. Dies kann die Entwicklung neuer, wirksamer Behandlungen für eine Reihe von Krankheiten und Leiden verhindern. Eine enge Definition kann so den Patienten zum Verhängnis werden, deren individuelle medizinische Bedarfe außerhalb der Definition liegen. Auch wird durch die enge Definition die Vorhersehbarkeit der Anreize gegenüber der bisherigen Definition verringert, welches die Investitionsentscheidung zusätzlich erschwert. Eine solche Verengung droht also die Entwicklung neuer Arzneimittel eher zu behindern als zu beschleunigen, mit negativen Folgen für die zukünftige Patientenversorgung.

Zusätzliche Abstufung des hohen Bedarfs ist ein fataler Irrweg

Der Versuch einer stark einschränkenden Anreizsetzung über die zusätzliche Abstufung eines hohen ungedeckten Bedarfs, der auf eine Erreichung „außergewöhnlicher Fortschritte“ abzielt, ist ein fataler Irrweg. So werden Schrittinnovationen von der Förderung ausgeschlossen, die den größten Anteil der Entwicklungen ausmachen und die für den dauerhaften Fortschritt unbedingt erforderlich sind und Durchbruchinnovationen häufig erst ermöglichen. Patienten, die auf eine graduelle Verbesserung der Behandlung ihres medizinischen Bedarfs gehofft haben, laufen so Gefahr, zukünftig leer auszugehen. Aber auch die Hoffnungen der Patienten auf zukünftige Durchbruchinnovationen können so enttäuscht werden. Die Abstufung eines hohen ungedeckten Bedarfs ist aber auch aus anderer Sicht problematisch: Er wirft Fragen bezüglich der Willkürlichkeit der

Abgrenzung und damit auch ethische Bedenken einer solchen Priorisierungspraxis auf.

Umfassende Definition sichert Innovation

Eine angemessene Definition des ungedeckten medizinischen Bedarfs sollte einen umfassenden Ansatz ohne zusätzliche Abstufungen verfolgen. Sie sollte auf grundlegende Charakteristika des medizinischen Bedarfs ausgerichtet sein, um dem breiten Spektrum des ungedeckten medizinischen Bedarfs der Patienten gerecht zu werden. Schrittinnovationen sollten im Interesse der Patienten darin Platz finden. Die forschenden Pharma-Unternehmen empfehlen daher die folgende Definition:

Ein ungedeckter medizinischer Bedarf ist ein Zustand, der durch zugelassene Medikamente und Methoden nicht angemessen verhindert, behandelt oder diagnostiziert wird.

Eine solche Definition basiert auf dem Verständnis der europäischen Zulassungsbehörden für den Zugang zu beschleunigten und besonderen Zulassungswegen (PRIME, bedingte Zulassung). Sie erlaubt, krankheitsspezifische und patientenindividuelle ungedeckte Bedarfe zu erfassen und gebührend zu würdigen. Die Definition bietet effektive Anreize zur Entwicklung von innovativen Medikamenten zur Behandlung des ungedeckten Bedarfs und kann zukünftige Innovationen sichern.

Kontakt

Verband forschender Arzneimittelhersteller (vfa)
Hausvogteiplatz 13
10117 Berlin
Telefon +49 30 206 04-0
info@vfa.de

Der vfa ist registrierter Interessenvertreter gemäß LobbyRG (Registernummer R000762) und beachtet die Grundsätze integrierter Interessenvertretung nach § 5 LobbyRG.