

Nr. 3/2011
vom 6. Juni 2011

Symposium zu Seltenen Erkrankungen

Seite 1/2

Medizinischer Fortschritt für Patienten mit Seltenen Erkrankungen

Mainz (vfa bio). „Menschen mit seltenen Krankheiten haben ein Recht darauf, dass auch für sie Medikamente erforscht und entwickelt werden. Immer mehr forschende Pharma-Unternehmen stellen sich inzwischen dieser Herausforderung“. Das erklärte Martina Ochel, Geschäftsführerin der Genzyme GmbH und stellvertretende Vorsitzende von vfa bio, der Interessengruppe Biotechnologie im Verband der forschenden Pharma-Unternehmen (vfa), am 6. Juni in Mainz. Sie sprach auf dem Symposium „Medizinischer Fortschritt für Patienten mit Seltenen Erkrankungen“, das vfa bio im Rahmen des vom Bundesforschungsministerium initiierten Wissenschaftsjahres 2011 „Forschung für unsere Gesundheit“ ausrichtete.

Rückfragen an:

Dr. Rolf Hömke
Wissenschaftspresse
Telefon 030 20604-204
Telefax 030 20604-209
r.hoemke@vfa.de

Als selten gilt eine schwere Erkrankung, wenn maximal einer von 2.000 EU-Bürgern davon betroffen ist. Darunter fallen beispielsweise viele Erbkrankheiten (wie Mukoviszidose oder Morbus Fabry), die Herz-Kreislaufstörung „Lungenhochdruck“, alle Formen von Leukämie und viele weitere Krebserkrankungen, insbesondere bei Kindern. Die Entwicklung von Medikamenten gegen seltene Krankheiten – sogenannten Orphan Drugs – wird in der EU unterstützt. 60 sind bereits zugelassen (siehe www.vfa.de/orphans); an mehreren hundert weiteren wird gearbeitet. „Das ist ein guter Anfang, aber kein Grund, sich schon zurückzulehnen“, so Ochel. „Denn es gibt tausende seltener Krankheiten!“

Deshalb hätten mehrere Unternehmen in den letzten Jahren eigene Abteilungen zur Entwicklung von Orphan Drugs eingerichtet. Auch werden derzeit in allen EU-Ländern auf Beschluss der Gesundheitsminister nationale Aktionspläne für seltene Krankheiten erarbeitet. In Deutschland ist dazu das Nationale Aktionsbündnis für Menschen mit

Hausvogteiplatz 13
10117 Berlin
Telefon 030 206 04-310
Telefax 030 206 04-302
www.vfa-bio.de

seltene Erkrankungen (NAMSE) vom Bundesgesundheits- und Bundesforschungsministerium sowie der Allianz Chronischer Seltener Erkrankungen (ACHSE) e.V. gegründet worden. vfa bio gehört diesem Bündnis an.

Dr. Siegfried Throm, Geschäftsführer vfa bio, ging auf die Markteinführung neuer Orphan Drugs in Deutschland ein: „Als Orphan Drug wird ein Arzneimittel nur zugelassen, wenn es einen erheblichen Nutzen für die Patienten über die bisherigen Behandlungsmöglichkeiten hinaus bietet. Das kontrolliert die europäische Arzneimittelagentur EMA im Rahmen des Zulassungsverfahrens.“ Daher werde bei der für alle neuen Medikamente in Deutschland obligaten frühen Nutzenbewertung auf ein erneutes Beleg verzichtet. Nicht verzichtet werde hingegen auf die anschließende Preisverhandlung mit den Krankenkassen. „Die Ergebnisse der ersten Preisverhandlungen über Orphan Drugs werden ein klares Signal senden, ob die Krankenkassen bereit sind, den Aufwand für deren Entwicklung zu honorieren und ihre engen Refinanzierungsmöglichkeiten zu berücksichtigen.“

Seite 2/2

Pressemitteilung
Nr. 3/2011
vom 6. Juni 2011

Ochel abschließend: „Gerade mit Blick auf die nationalen Bestrebungen, die Versorgung von Menschen mit seltenen Erkrankungen zu verbessern, sollten keine neuen Hürden aufgebaut werden.“ Mit der Gründung des NAMSE habe die Bundesregierung deshalb ein richtiges Zeichen gesetzt. „vfa bio setzt sich deshalb für eine konsequente Förderung der Entwicklung neuer Therapien gegen seltene Krankheiten in allen Arbeitsphasen und für eine Politik aus einem Guss ein, die Forschungs-, Gesundheits- und Wirtschaftspolitik integriert.“

vfa bio vertritt die Biotechnologie im vfa, der sich für die Belange seiner 43 weltweit führenden Hersteller in der Gesundheits-, Forschungs- und Wirtschaftspolitik einsetzt. vfa bio macht sich dafür stark, das medizinische und wirtschaftliche Potenzial der Biotechnologie zu nutzen und Deutschland zum führenden Biotechnologiestandort Europas zu machen. vfa bio gehören derzeit 29 Unternehmen an.