



Medizinische Biotechnologie in Deutschland 2010

Nutzen von Biopharmazeutika für Kinder

Pressekonferenz am 28. April 2010



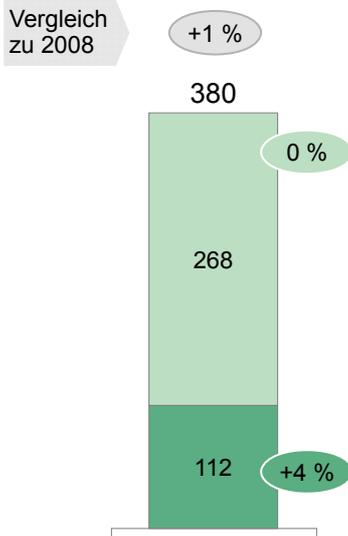
Medizinische Biotechnologie in Deutschland 2010

Nutzen von Biopharmazeutika für Kinder

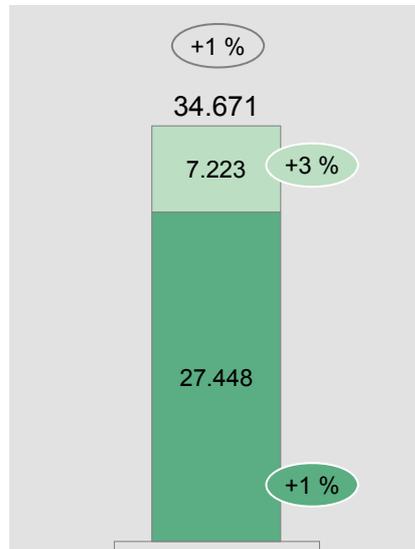
28. April 2010

Trotz Wirtschaftskrise bleibt die Zahl der Mitarbeiter stabil

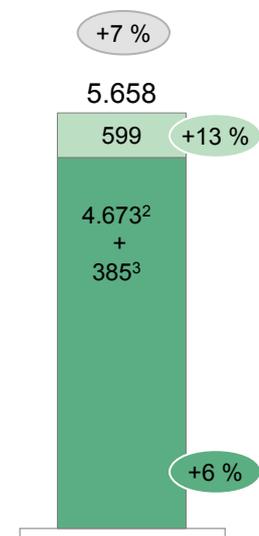
Anzahl der Unternehmen in Deutschland 2009



Beschäftigte der Unternehmen in Deutschland 2009



Umsatz der Unternehmen in Deutschland 2009 (in Mio. €)



■ Unternehmen mit Technologieplattform¹
■ Unternehmen mit Produkten am Markt und/oder Wirkstoffentwicklung

1. Aber ohne eigene Wirkstoffentwicklung 2. Umsatz mit Biopharmazeutika (Krankenhäuser und Apotheken) 3. Umsatz mit Lizenzen, Meilensteinzahlungen, Serviceleistungen etc. von aufstrebenden Unternehmen mit eigener Wirkstoffpipeline; BCG-Schätzung

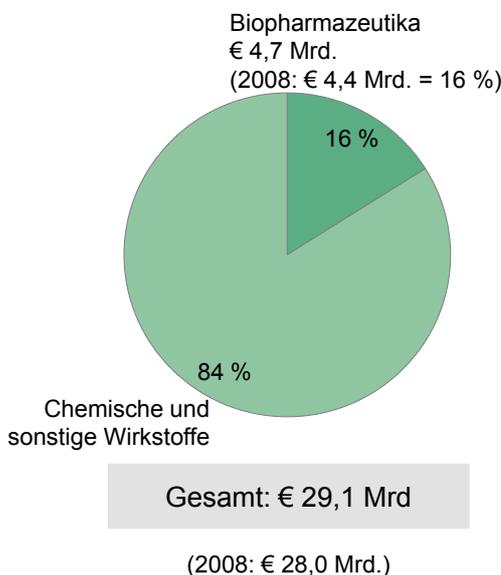
Quelle: Bureau van Dijk; vfa-Mitgliedsunternehmen; Ernst & Young 2009; BCG-Analyse

THE BOSTON CONSULTING GROUP

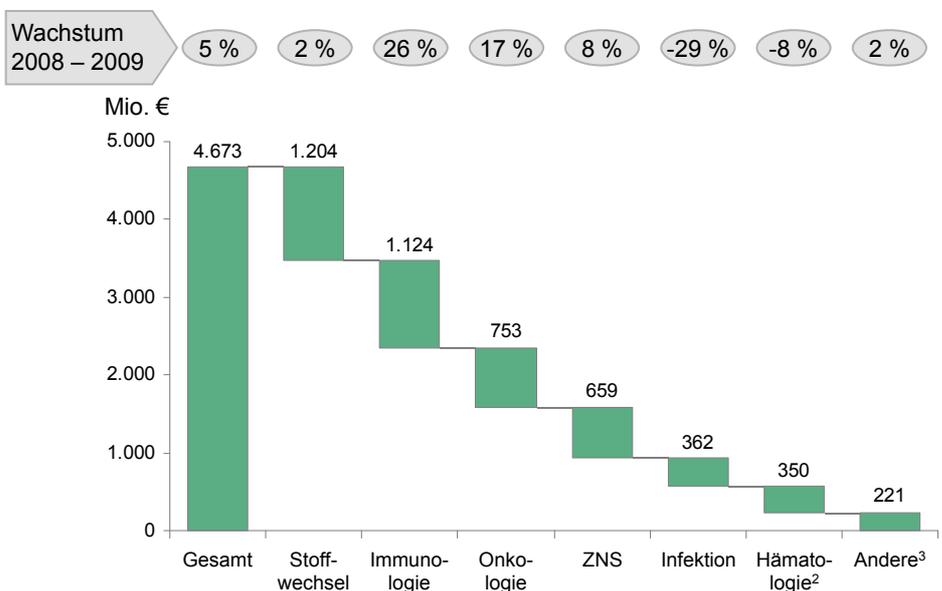
2

Biopharmazeutika mit moderatem Wachstum

Anteil Biopharmazeutika am gesamten Pharmamarkt¹ (Deutschland, 2009)



Umsatz¹ mit Biopharmazeutika in Deutschland (in Mio. € 2009)



1. Gesamtumsatz nach ApU (Abgabepreis pharmazeutischer Unternehmen) 2. Exklusive hämatologische Onkologie 3. U. a. Gastroenterologie, Dermatologie, Urologie etc. Anmerkung: Biopharmazeutika = Arzneimittel, deren Wirkstoffe mit Hilfe gentechnisch veränderter Organismen hergestellt werden; Im Vergleich zu den Vorjahren veränderte Datenbasis aufgrund modifizierter Klassifizierung

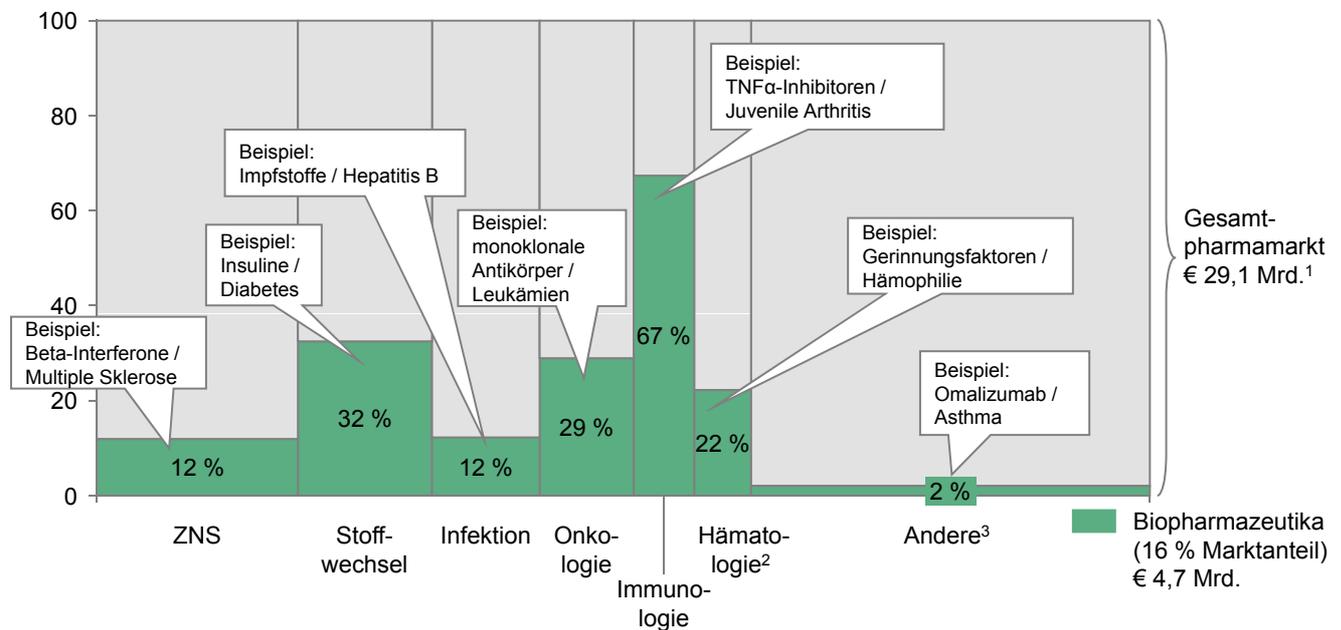
Quelle: IMS; BCG-Analyse

THE BOSTON CONSULTING GROUP

3

Biopharmazeutika mit signifikantem Anteil in wichtigen Therapiebereichen

Anteil Biopharmazeutika am Gesamtpharmamarkt (Umsatz Deutschland 2009)

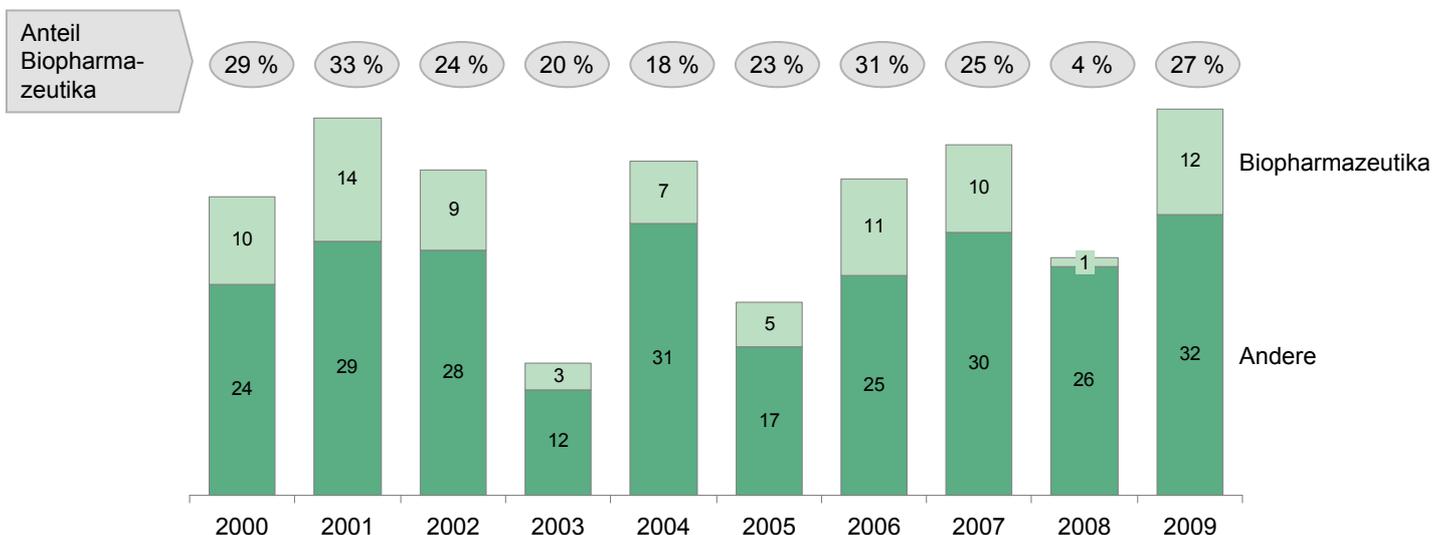


1. Gesamtumsatz nach ApU (Abgabepreis pharmazeutischer Unternehmen) 2. Exklusive hämatologische Onkologie 3. U. a. Gastroenterologie, Dermatologie, Urologie etc.
 Quelle: IMS; BCG-Analyse

THE BOSTON CONSULTING GROUP

In 2009 gut ein Viertel der Zulassungen Biopharmazeutika

Zahl der Neuzulassungen in Deutschland¹

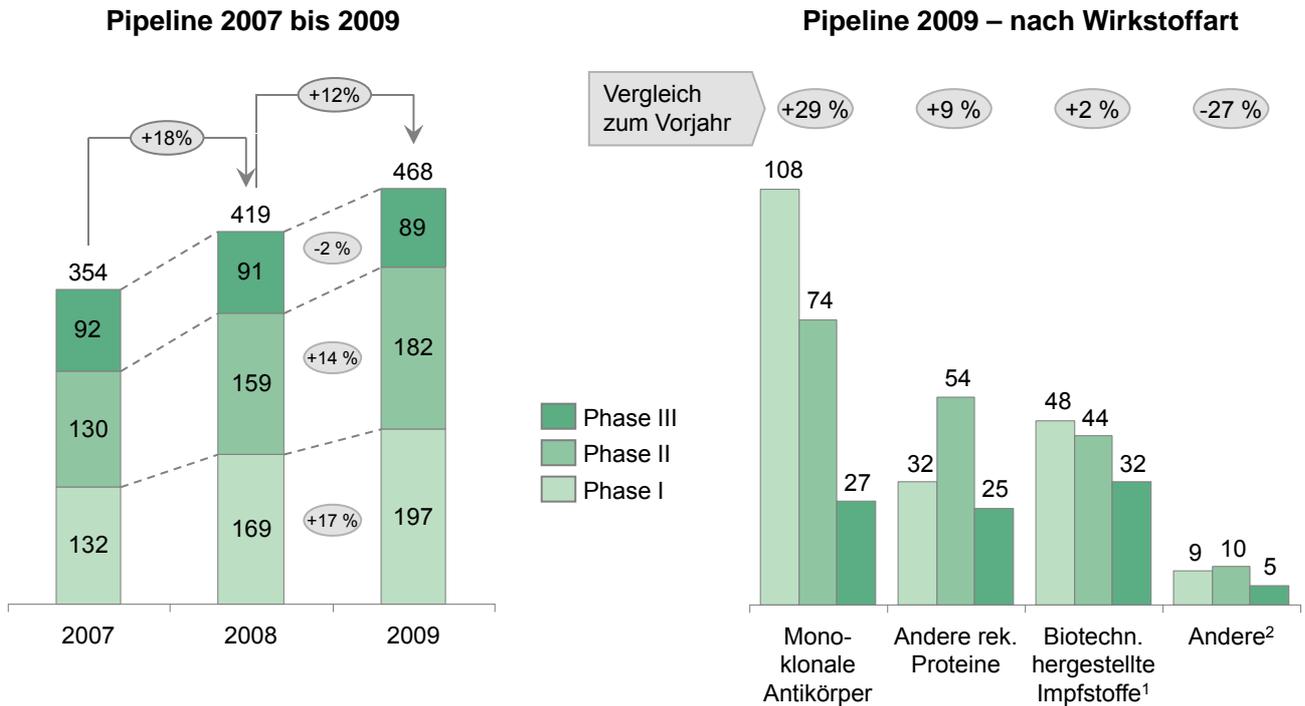


1. Neue Wirkstoffe oder neue Kombinationen bekannter Wirkstoffe
 Quelle: EMA; Europäische Kommission; vfa; BCG-Analyse

THE BOSTON CONSULTING GROUP

Kontinuierliches Wachstum der Biopharmazeutika-Pipeline

Wachstum der Antikörper in Entwicklung weiterhin auf sehr hohem Niveau



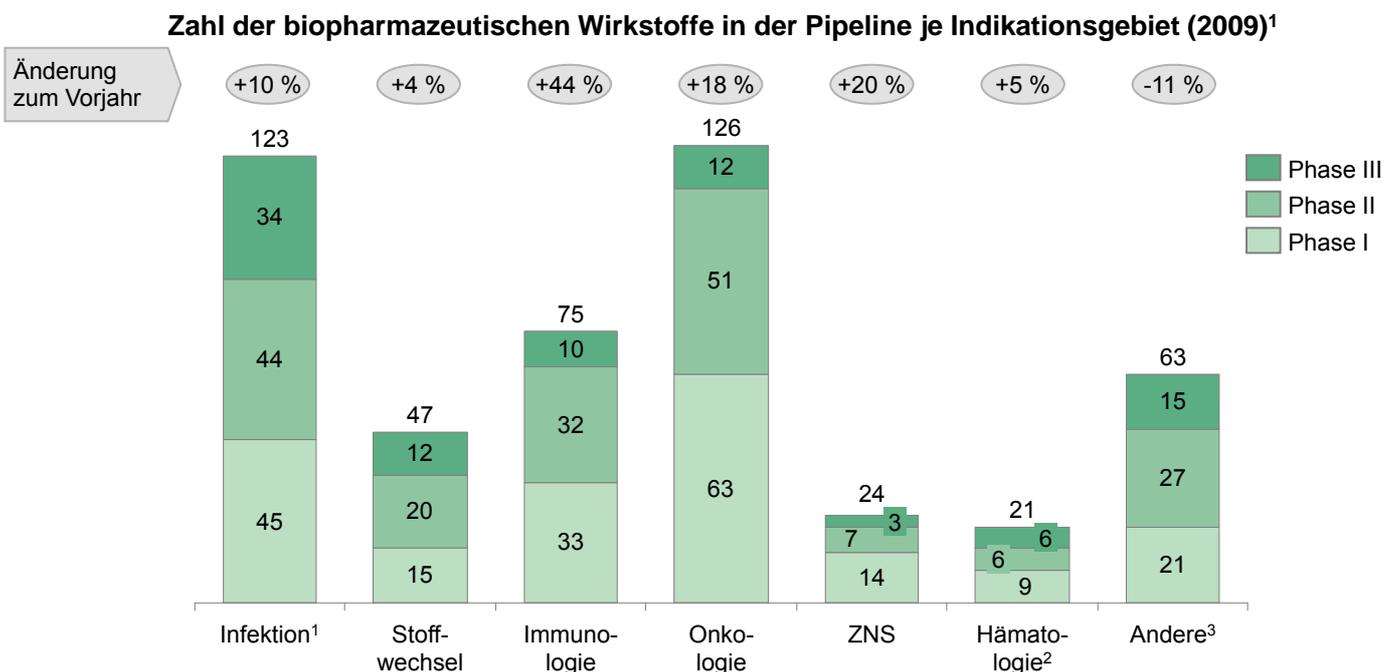
1. Biotechnologisch und gentechnisch hergestellt 2. U. a. Zelltherapie, Gentherapie
 Anmerkung: Phase I/IIa in Phase I enthalten; Wirkstoffe im Zulassungsverfahren in Phase III enthalten; Wirkstoffe in weltweit durchgeführten Studien von in Deutschland tätigen Unternehmen
 Quelle: EvaluatePharma; vfa; Unternehmensauskünfte; BCG-Analyse

THE BOSTON CONSULTING GROUP

6

Entwicklungsschwerpunkte sind Impfstoffe und Krebspräparate

Immunologie mit stärkstem Wachstum



1. Biotechnologisch und gentechnisch hergestellte Impfstoffe 2. U. a. Antianämika, Antithrombotika, Fibrinolytika, etc., exklusive hämatologische Onkologie 3. U. a. Wirkstoffe für Dermatologie, Muskelerkrankungen, Schlafstörungen, Knochen etc.
 Anmerkung: Phase I/IIa in Phase I enthalten; Wirkstoffe im Zulassungsverfahren in Phase III enthalten; manche Wirkstoffe in zwei Indikationsgebieten in der Entwicklung; Wirkstoffe in weltweit durchgeführten Studien von in Deutschland tätigen Unternehmen;
 Quelle: EvaluatePharma; vfa bio; Unternehmensinformationen; BCG-Analyse

THE BOSTON CONSULTING GROUP

7

Medizinische Biotechnologie behauptet sich in der Krise mit moderatem Umsatzwachstum und stabilen Beschäftigtenzahlen

- **Zahl der Mitarbeiter** in schwierigem wirtschaftlichen Umfeld stabil (+1 % vs. 2008)
- **Zahl der Unternehmen** ebenfalls stabil (+1 % vs. 2008)
- **Umsatz mit Biopharmazeutika: 4,7 Mrd. in 2009** (+5,4 % vs. 2008; weiterhin 16 % vom Gesamtpharmamarkt)
- **468 Biopharmazeutika in der klinischen Prüfung** (+12 % vs. 2008)
- **Entwicklungsschwerpunkte** bei Krebspräparaten und Impfstoffen

THE BOSTON CONSULTING GROUP

8

Nutzen von Biopharmazeutika für Kinder – Schwerpunktthema Biotech-Report 2010



Biopharmazeutika als Vorreiter: Fast zwei Drittel sind bereits für Minderjährige zugelassen

Abseamed®	Binocrit®	Fabrazyme®	Humatrope®	Lantus®	Norditropin®	Protaphane®	Roferon A®	Tysabri®
Actilyse®	Biograftim®	Fasturtec®	Huminsulin®	Leukomax®	NovoRapid®	Pulmozyme®	Saizen®	Valtropin®
Actraphane®	Biopoin®	Fendrix®	Humira®	Levemir®	Novoseven®	Puregon®	Silapo®	Vectibix®
Actrapid®	Cerezyme®	Fertavid®	Ilaris®	Liprolog®	Nplate®	Rapilysin®	Silgard®	Victoza®
Advate®	Cervarix®	Filgrastim Hexal®	Imukin®	Lucentis®	Nutropin AQ®	Ratiograstim®	Simponi®	ViraferonPeg®
Aldurazyme®	Cimzia®	Filgrastim Ratiopharm®	Increlex®	Luveris®	Omnitrope®	Rebif®	Simulect®	Xigris®
Ambrix®	Dukoral®	Forsteo®	InductOs®	MabCampath®	Opogren®	Recombinat®	Soliris®	Xolair®
Apidra®	Elaprase®	Gardasil®	Infanrix hexa®	Mabthera®	Optisulin®	ReFacto®	Somavert®	Zarzio®
Aranesp®	Enbrel®	Genotropin®	Infanrix penta®	Metalyse®	Orencia® ¹	Refludan®	Stelara®	Zevalin®
Arcalyst®	Engerix-B® Erw.	GlucaGen®	Insulatard®	Mircera®	Osigraft®	Regranex®	Synagis®	Zomacton®
Atryn®	Engerix-B® Kinder	Gonal-f®	Insulin Human Winthrop®	Mixtard®	Ovitrelle®	Remicade®	Synflorix®	
Avastin®	Epoetin alfa Hexal®	Granocyte®	Insuman®	Myozyme®	PEGASYS®	ReoPro®	Tevagrastim®	
Avonex®	Eporatio®	HBVAXPRO®	Intron A®	Naglazyme®	Peg-Intron®	Replagal®	Thyrogen®	
BeneFIX®	Erbix®	Helixate NexGen®	Kepivance®	Neorecormon®	Pergoveris®	Retacrit®	Tritanrix® HepB	
Beromun®	Erypo®	Herceptin®	Kineret®	Neulasta®	Preotact®	Revasc®	Twinrix® Erw.	
Betaferon®	Extavia®	Humalog®	Kogenate Bayer®	Neupogen®	Proleukin®	RoActemra®	Twinrix® Kinder	

Zulassungen für Minderjährige (Stand Dezember 2009)

1. Hat eine Zulassung für Kinder seit Januar 2010
Quelle: EMA; www.via.de/kinder

THE BOSTON CONSULTING GROUP

10

Seit 2007 regelt europäische Verordnung Entwicklung von Arzneimitteln für Kinder

Ausschuss für Kinderarzneimittel¹ der EMA² prüft jede laufende Entwicklung eines neuen Präparats oder einer neuen Anwendung

Patentgeschützte Präparate

- **Pädiatrischer Prüfplan** (Paediatric Investigation Plan, PIP)
- **Waiver: keine pädiatrischen Studien notwendig**
- **Als Ausgleich für PIP eine um 6 Monate verlängerte Marktexklusivität**

Patentfreie Arzneimittel

- **Kindgerechte Weiterentwicklung optional**
- **10 Jahre „Unterlagenschutz“** – so lange können Wettbewerber die pädiatrische Zulassungserweiterung nicht ohne eigene Studien übernehmen

**Entwicklung von Biopharmazeutika:
Kinder auch schon vor EG-Verordnung im Blick**

Biopharmazeutika für Kinder: Für viele Krankheiten bereits zugelassen, für viele weitere in der Entwicklung

Seltene Krankheiten	Autoimmunerkrankungen	Krebserkrankungen
Morbus Fabry (o. A.) Hämophilie A (o. A.) Morbus Gaucher (o. A.) Atyp. hämolyt.-urämisches Syndrom (12 J.) Morbus Pompe (o. A.) Muckle-Wells-Syndrom (4 J.) Mukoviszidose (5 J.) Paroxysmale nächtl. Hämoglobinurie (2 J.) Schwere ererbte Neutropenie (o. A.) Mukopolysaccharidosen (o. A.) Hämophilie B (6 J.) → (6 Mo.)	Lupus Erythematosus (5 J.) Psoriasis (8 J.) → (6 J.) Diabetes Typ I (o. A.) Juvenile Arthritis (4 J.) → (2 J.) Multiple Sklerose (12 J.) Morbus Crohn (6 J.)	Ewing-Sarkom (2 J.) Hepatitis B-Impfstoff/ Prävention von Leberkrebs (o. A.) Solide Tumoren (o. A.) Krebsbegleitbehandlung (o. A.) ¹ Osteoklastom (12 J.) Weichteilsarkom (6 Mo.) ALL (o. A.)⁴ HPV-Impfstoff/Prävention von Gebärmutterhalskrebs (9 J.) ³ Burkitt-Lymphom (6 Mo.)
RSV-Impfstoff ^{2,6} (< 2 J.) Malaria-Impfstoff (1 J.) Dengue-Fieber-Impfstoff (1 J.) Prophylaxe Transplantatabstoßung (1 J.) Primärer Hypogonadismus (14 J.)⁵	Asthma (6 J.) Blutarmut (o. A.) Immunstimulation (1 Mo.) Wachstumsstörungen (o. A.) Weitere Erkrankungen	Akutes Angioödem (2 J.) Cholera-Impfstoff (2 J.) Diabetes Typ II (o. A.) Hepatitis C (3 J.) → (o. A.) Tollwut-Impfstoff⁶ (5 J.)

1. Z.B. Neutropenien oder bei erhöhtem Harnsäurespiegel während Chemotherapie 2. Respiratorisches Syncytialvirus 3. Für Mädchen 4. Akute Lymphatische Leukämie 5. Für Jungen 6. Passivimpfstoff; Anmerkung: Bei Zulassung mehrerer Biopharmazeutika je Indikation ist die unterste Altersgrenze angegeben; o. A. = ohne Altersbeschränkung; schwarz = Kinderzulassung bereits vorhanden, blau = kommende Kinderzulassung
Quelle: EMA; genehmigte PIPs bis Februar 2010; clinical trials.gov; vfa

THE BOSTON CONSULTING GROUP

12

Medizinische Biotechnologie behauptet sich in der Krise mit moderatem Umsatzwachstum und stabilen Beschäftigtenzahlen

- **Zahl der Mitarbeiter** in schwierigem wirtschaftlichen Umfeld stabil (+1 % vs. 2008)
- **Zahl der Unternehmen** ebenfalls stabil (+1 % vs. 2008)
- **Umsatz mit Biopharmazeutika: 4,7 Mrd. in 2009** (+5,4 % vs. 2008)
- **468 Biopharmazeutika in der klinischen Prüfung** (+12 % vs. 2008)
- **Entwicklungsschwerpunkte** bei Krebspräparaten und Impfstoffen

1. Trotz der bisherigen Erfolge ist der medizinische Bedarf weiterhin sehr hoch
2. Die medizin. Biotechnologie kann durch innovative Medikamente Lösungen liefern
3. Hierfür sind adäquate und verlässliche Rahmenbedingungen erforderlich:

- Wettbewerbliche Neuordnung des Gesundheitswesens und Deregulierung
- Gesamtgesellschaftliche Perspektive bei der Arzneimittelbewertung
- Politik aus einem Guss: Forschung, Gesundheit & Wirtschaft

 Aktuelle Gesundheitsreformpläne sind kontraproduktiv!

Medizinische Biotechnologie in Deutschland 2010

Nutzen von Biopharmazeutika für Kinder

Pressekonferenz am 28. April 2010

Agenda

Zusätzliche Folien für Handout

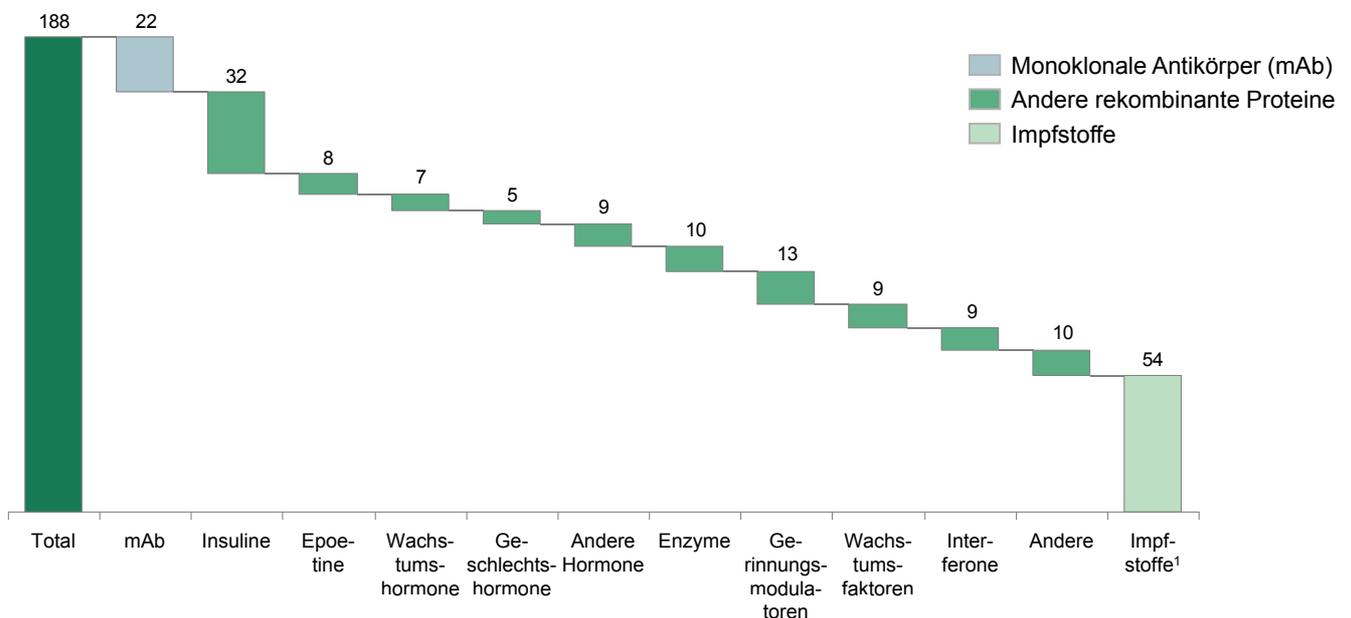
Die vorliegende Studie ist die Vierte einer gemeinsam von vfa bio und The Boston Consulting Group erarbeiteten Studienreihe zur Lage der medizinischen Biotechnologie in Deutschland.

Die Bestandsaufnahme umfasst die biotechnologischen Aktivitäten folgender Firmen in Deutschland

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

Knapp 200 Biopharmazeutika auf dem deutschen Markt zugelassen

Gesamtzahl der bisher zugelassenen Produkte nach Wirkstoffart



1. Biotechnologisch und gentechnisch hergestellt
Anmerkung: Stichtag 31.12.2009
Quelle: Unternehmensauskünfte; EvaluatePharma; BCG-Analyse

Neuzulassungen von Biopharmazeutika in Deutschland/EU 2009 (I)

Klassifizierung	Wirkstoff	Therapiegebiet	Wirkung/Nutzen
Antikörper	Ustekinumab	Psoriasis	Voll humanisierter monoklonaler Antikörper mit neuem Wirkmechanismus bei Psoriasis; hemmt Aktivität der Interleukine 12 und 23
	Tocilizumab	Rheumatoide Arthritis	Neuer Wirkmechanismus bei der Behandlung der Rheumatoiden Arthritis; Antikörper blockiert die Aktivität des humanen Interleukin-6-Rezeptors und wirkt dadurch als Immunsuppressivum
	Certolizumab Pegol	Rheumatoide Arthritis	Pegyliertes TNF- α -Antikörperfragment hemmt Entzündung; Verabreichung subkutan alle zwei Wochen
	Golimumab	Rheumatoide Arthritis, Psoriasis-Arthritis, Morbus Bechterew	TNF- α -Antikörperfragment hemmt Entzündung; Verabreichung subkutan einmal monatlich
	Canakinumab	Cryopyrin-assoziierte periodische Syndrome (CAPS)	Monoklonaler Antikörper gegen Interleukin-1 β ; gemeinsam mit Riloncept erstes Medikament gegen CAPS (seltene Krankheit)

Neuzulassungen von Biopharmazeutika in Deutschland/EU 2009 (II)

Klassifizierung	Wirkstoff	Therapiegebiet	Wirkung/Nutzen
Andere rekombinante Proteine	Romiplostim	ITP - Idiopathische thrombozytopenische Purpura	Erstes Medikament gegen ITP (seltene Krankheit); Fusionsprotein aus einem Antikörperfragment und einem Peptid (Peptibody); blutstillende Wirkung durch Steigerung der Blutplättchenproduktion
	Filgrastim	Neutropenie	Biosimilar Zulassung
	Liraglutid	Diabetes Typ 2	GLP-1-Analogon; stimuliert glukoseabhängig die Insulinsekretion; Anwendung unabhängig von Mahlzeiten ein Mal täglich als Spritze
	Riloncept	Cryopyrin-assoziierte periodische Syndrome (CAPS)	Dimeres Fusionsprotein, hemmt Interleukin-1 β und Interleukin-1 α ; gemeinsam mit Canakinumab erstes Medikament gegen CAPS (seltene Krankheit)
	Epoetin Theta	Blutarmut	Medikament zur Therapie der Blutarmut bei chronischer Niereninsuffizienz und bei Krebs-Patienten
	Eptotermin Alfa	Behandlung von Spondylolisthese (Wirbelgleiten)	Humanes osteogenes Protein, welches das Knochenwachstum stimuliert; dadurch wird bei der Spondylolisthese-Operation die Verschmelzung der betroffenen verrutschten Wirbel unterstützt

Neuzulassungen von gentechnisch und biotechnologisch hergestellten Impfstoffen in Deutschland/EU 2009

Klassifizierung	Wirkstoff	Therapiegebiet	Wirkung/Nutzen
Gentechnisch hergestellter Impfstoff	Pneumokokken Konjugat-Impfstoff	Verhütung von Infektionen durch Pneumokokken	Impfstoff für Säuglinge und Kleinkinder im Alter von sechs Wochen bis zwei Jahren zum Schutz vor invasiven Erkrankungen ¹ und akuter Mittelohrentzündung, die durch 10 Stämme von <i>S. pneumoniae</i> verursacht werden
	Influenza-spaltimpfstoff	Influenza-Prophylaxe	In Zellkultur hergestellter Impfstoff zum Schutz vor einer Grippepandemie durch das Grippevirus A/H1N1
Biotechnologisch hergestellte Impfstoffe	Japanische Enzephalitis Impfstoff	Japanische Enzephalitis (Immunisierung)	Erster auch in Deutschland zugelassener Impfstoff zum Schutz vor japanischer Enzephalitis, die tödlich verlaufen oder zu einer langfristigen Behinderung führen kann
	Pneumokokken Konjugat-Impfstoff	Verhütung von Infektionen durch Pneumokokken	Impfstoff für Säuglinge und Kinder von sechs Wochen bis fünf Jahren zum Schutz vor invasiven Erkrankungen* und akuter Mittelohrentzündung, die durch 13 Stämme von <i>S. pneumoniae</i> verursacht werden

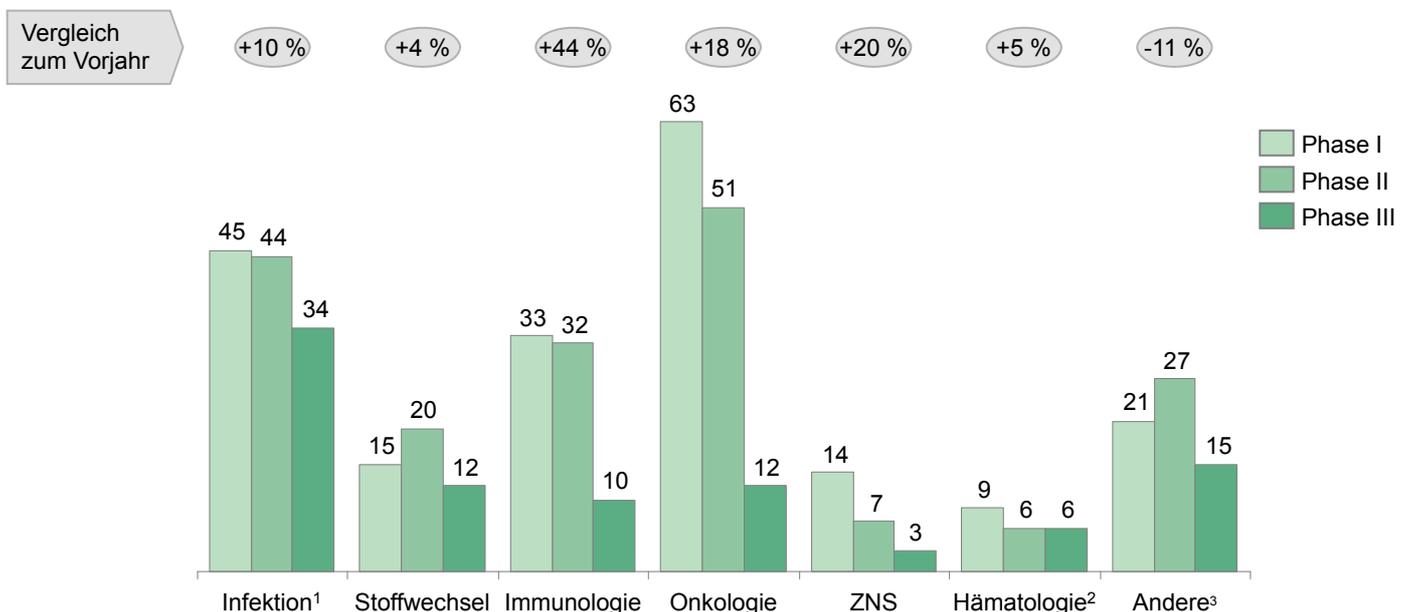
1. Blutinfektion, Hirnhautentzündung, Lungenentzündung

THE BOSTON CONSULTING GROUP

20

Krebspräparate und Impfstoffe bleiben Entwicklungsschwerpunkt

Zahl der biopharmazeutischen Wirkstoffe in der Pipeline je Indikationsgebiet (2009)



1. Biotechnologisch und gentechnisch hergestellte Impfstoffe 2. U. a. Antianämika, Antithrombotika; Fibrinolytika, etc. exklusive hämatologische Onkologie 3. U. a. Wirkstoffe für Dermatologie, Muskelerkrankungen, Schlafstörungen, Knochen etc.
Anmerkung: Phase I/IIa in Phase I enthalten; Wirkstoffe im Zulassungsverfahren in Phase III enthalten; manche Wirkstoffe in zwei Indikationsgebieten in der Entwicklung; Wirkstoffe in weltweit durchgeführten Studien von in Deutschland tätigen Unternehmen;
Quelle: EvaluatePharma; vfa; Unternehmensauskünfte; BCG-Analyse

THE BOSTON CONSULTING GROUP

21