

vfa/vfa bio-Positionspapier Pharma/Biotech und Innovationen

Zusammenfassung

Die forschende Pharma- und Biotech-Industrie, die allein schon durch ihre hohen Forschungsaufwendungen von 16,2 % des Umsatzes (2018) zu den Hightech-Industriezweigen zählt, ist über ihre kontinuierlichen Innovationen ein wesentlicher Treiber des medizinischen Fortschritts. Innovationen zeigen sich dabei nicht allein in neuen Medikamenten und therapeutischen Optionen, sondern im gesamten Leistungsangebot dieser Industrie. Innovationen können Sprung- oder Schritt-Innovationen sein – in jedem Fall führen sie zu medizinischem Fortschritt, sind von Nutzen für den jeweiligen Patienten und gesamtgesellschaftlich unverzichtbar für den Wissenschafts-, Wirtschafts- und Innovationsstandort Deutschland.

Seite 1/10

Die Pharma- und Biotech-Unternehmen erforschen, entwickeln und produzieren innovative Arzneimittel samt geeigneter Applikationshilfen (Devices) und Services (z.B. digitale Anwendungen, Patientenbegleitprogramme) und generieren zudem auch erhebliches Wissen – in Netzwerken und enger Kooperation mit Stakeholdern in Deutschland und vielen anderen Ländern weltweit. Dieses Wissen stellt – neben der „Hardware“ Medikamente – ein wichtiges Exportgut für unser rohstoffarmes Land dar, schafft international Wettbewerbsvorteile und trägt mit dazu bei, Fortschritt und Wohlstand in Deutschland zu sichern.

Die forschenden Pharma- und Biotech-Unternehmen werden auch künftig

- kontinuierlich Schrittinnovationen liefern, also Medikamente mit verbesserter Wirksamkeit, besserer Verträglichkeit, günstigerem Nebenwirkungsprofil, einfacherer Anwendung,
- Sprunginnovationen in den Markt bringen, also Medikamente in gänzlich neuen Anwendungsgebieten oder mit vollkommen neuem Wirkmechanismus und
- Angebote für Patienten über das eigentliche Medikament hinaus machen wie beispielsweise Applikationshilfen (Devices) oder Services wie Beratungs- oder Schulungsprogramme z.B. für Diabetiker oder Asthmatiker.

Die forschende Pharma- und Biotech-Industrie setzt sich im gesellschaftlichen Dialog mit allen relevanten Stakeholdern aktiv ein:

- für die Akzeptanz und Wertschätzung von Innovationen,
- für eine ausgewogene Chancen-Risiken-Bewertung dieser Innovationen und
- für den Erhalt sowie die Stärkung des Innovationskreislaufs durch adäquate Anreize.

Inhaltsverzeichnis

Seite 2/10

Zusammenfassung	1
Inhaltsverzeichnis	2
A) Definition „Innovation“	3
B) Das Angebot: Wissen, Expertise, Innovationen	3
C) In Zukunft: Lösungen für den weiterhin hohen Bedarf an innovativen Medikamenten und Therapien.....	5
D) Hohe Forschungs- und Entwicklungsaufwendungen – risikoreiches Geschäftsmodell.....	6
E) Welche Rahmenbedingungen werden benötigt, um den Innovationskreislauf zu erhalten und zu stärken – Empfehlungen von vfa und vfa bio	7

A) Definition „Innovation“

Seite 3/10

Der Begriff Innovation wird sehr häufig verwendet, doch bleibt mitunter unklar, was genau damit gemeint ist.

Innovation kommt vom lateinischen Wort *novus* (= neu). Eine Innovation ist deshalb etwas neu Geschaffenes. Aber: Nicht alles Neue ist auch eine Innovation. Hierzu wird häufig Joseph Schumpeter (österreichischer Ökonom, 1883-1950; „*Theorie der wirtschaftlichen Entwicklung*“ 1911) zitiert: „Innovation ist die Durchsetzung einer technischen oder organisatorischen Neuerung im Produktionsprozess, nicht schon die entsprechende Erfindung.“ Der Innovationsbegriff geht heute aber weit über den Produktionsprozess hinaus und schließt ein vermarktungsfähiges Produkt ein – also die erfolgreiche Translation einer Erfindung in den Markt.

B) Das Angebot: Wissen, Expertise, Innovationen

Eine pharmazeutische Innovation kann am ehesten als ein technologischer Fortschritt definiert werden, der zu einem völlig neuen Produkt oder zu einem therapeutischen Mehrwert eines bereits existierenden Produktes mit einem Vorteil für die Patienten führt.

Innovationen der forschenden Pharma- und Biotech-Industrie umfassen die drei folgenden Dimensionen:

1. Produkt- und Prozessinnovationen
2. Innovationen mit Blick auf den Nutzen für den Patienten
3. Innovationen mit Blick auf den Nutzen für die Gesellschaft

Dabei umfassen Prozessinnovationen nicht nur den reinen Produktionsprozess eines Medikaments, sondern beispielsweise auch Verbesserungen für die Patienten beim Therapiemanagement. Produktinnovationen in den Bereichen Pharma und Biotech sind:

- Neue Wirkstoffe zur Heilung bzw. Therapie von zuvor nicht medikamentös behandelbaren Krankheiten
- Neue Wirkstoffe oder -prinzipien bei bisher nicht adäquat therapierbaren Krankheiten, z. B. solche, die ein Fortschreiten der Erkrankung verzögern oder die Folgeerkrankungen verringern
- Neue Darreichungs- oder Applikationsformen, durch die bekannte Wirkstoffe besser verfügbar werden und/oder geringere Nebenwirkungen entfalten und die damit auch die Therapietreue (Compliance bzw. Adhärenz) verbessern
- Neue Ansätze, die die Häufigkeit oder die Schwere von Nebenwirkungen reduzieren

- Neue Präparate zur Vorbeugung von Krankheiten, insbesondere Impfstoffe
- Bekannte Wirkstoffe für neue Indikationen
- Kombinationstherapien mit mehreren (bekannten) Medikamenten mit verbesserter Wirksamkeit und/oder günstigerem Nebenwirkungsprofil.

Seite 4/10

Produktinnovationen können darüber hinaus zu folgenden deutlichen Verbesserungen für die Patienten führen und dabei auch gesamtgesellschaftliche Relevanz aufweisen:

- Längere Überlebensdauer nach der Diagnose z.B. einer Krebserkrankung
- Vermeidung bzw. Verkürzung von Krankenhausaufenthalten
- Verhütung von Folgeschäden und Behinderungen
- Vermeidung von Arbeitsunfähigkeit und Frühverrentungen
- Verbesserung der Lebensqualität.

Außerdem stellen die forschenden Pharma- und Biotech-Unternehmen zunehmend auch geeignete Applikationshilfen (Devices) zur Verfügung. Gerade bei Arzneimitteln wie den Biopharmazeutika, die in der Regel nicht oral eingenommen werden können, spielen Devices eine wichtige Rolle. Sie ermöglichen eine regelmäßige Selbstanwendung durch die Patienten, wodurch deren Lebensqualität weniger beeinträchtigt wird und die Therapietreue verbessert werden kann. Das ist insbesondere bei chronischen Erkrankungen von großer Bedeutung. Hinzu kommen immer digitale Anwendungen, mit denen die Anwendung von Medikamenten erleichtert und verbessert werden kann.

In jedem Fall führen pharmazeutische Innovationen – sowohl Sprung- als auch Schrittinnovationen – zu medizinischem Fortschritt, sind von Nutzen für den jeweiligen Patienten und sind gesamtgesellschaftlich unverzichtbar für den Wissenschafts-, Wirtschafts- und Innovationsstandort Deutschland.

Über die Bereitstellung innovativer Therapien und Begleitangebote hinaus generieren die Unternehmen Wissen – in Netzwerken und enger Kooperation mit anderen Stakeholdern. Dies geschieht sowohl auf nationaler Ebene, wo es Kooperationen mit vielen Universitäten und außeruniversitären Forschungseinrichtungen wie Helmholtz, Leibniz-, Fraunhofer- oder Max-Planck-Instituten, z.B. im Rahmen der Hightech-Strategie der Bundesregierung, gibt als auch international, z.B. bei der europäischen Innovative Medicines Initiative (IMI). Hinzu kommen Partnerschaften mit kleinen und mittelständischen Firmen aus dem Pharma- und Biotech- sowie Diagnostik- und IT-Bereich. Das so erzeugte Wissen kommt nicht

nur Patienten in Deutschland zugute, sondern stellt für unser rohstoffarmes Land auch ein wichtiges Exportgut dar und schafft international Wettbewerbsvorteile. Zusammengenommen ist die forschende Pharma- und Biotech-Industrie ein Innovations- und Produktivitätstreiber, der nicht nur zum therapeutischen Fortschritt, sondern auch zur Stärkung des Wirtschafts- und Innovationsstandorts Deutschland beiträgt.

Seite 5/10

Schritt- und Sprunginnovationen:

Im Bereich Pharma und Biotech werden zwei Arten von Innovationen unterschieden.

Sprunginnovationen eröffnen Patienten erstmalige Therapie- oder sogar Heilungschancen durch Medikamente für bisher nicht behandelbare Krankheiten oder neue therapeutische Optionen durch neue Wirkmechanismen.

Aber auch **Schrittinnovationen** sind von großer Bedeutung für die Patienten, da sie zu kontinuierlichen Verbesserungen wie beispielsweise zu Medikamenten mit verbesserter Wirksamkeit, besserer Verträglichkeit, günstigeren Nebenwirkungsprofilen und/oder einfacherer Anwendung führen. Aus der Onkologie sind etliche Beispiele bekannt, wie durch Schrittinnovationen ein bedeutender Überlebensvorteil für die Patienten erzielt werden konnte. So konnte zum Beispiel durch die Kombination von etablierten und innovativen Therapien in der Darmkrebstherapie das durchschnittliche Überleben von Patienten mit fortgeschrittenem Darmkrebs von sechs Monaten in den Jahren bis 1990 in verschiedenen Zwischenschritten auf mittlerweile über 30 Monate verlängert werden.

C) In Zukunft: Lösungen für den weiterhin hohen Bedarf an innovativen Medikamenten und Therapien

Trotz aller Erfolge der vergangenen Jahre bei der Verbesserung der Arzneimitteltherapie ist der Bedarf an innovativen Medikamenten und Therapien weiterhin ungebrochen: So gibt es erst für ungefähr ein Drittel der 30.000 bekannten Krankheiten gute Behandlungsmöglichkeiten. Darüber hinaus kamen und kommen kontinuierlich neue Krankheiten hinzu, die sich teilweise rasch weltweit verbreiten und somit eine große Gefahr für die gesamte Menschheit darstellen können. Dies zeigt sich derzeit in der durch SARS-CoV-2 ausgelösten Covid-19-Pandemie. Aber auch andere Infektionskrankheiten gehören dazu, z. B. HIV/AIDS, Ebola, die Vogelgrippe (aviäre Influenza H5N1), das Middle Eastern Respiratory Syndrome (MERS) oder das Dengue- und das Zika-Virus. Außerdem kehren einige lange bekannte und vermeintlich besiegte

Infektionskrankheiten wie Tuberkulose auch aufgrund der Zunahme von Resistenzen zurück. Pharmazeutische Forschung ist daher kein endlicher Prozess, sondern eine kontinuierliche Herausforderung.

Seite 6/10

In den letzten Jahren wurden immer häufiger Krankheitserreger entdeckt, die Resistenzen gegenüber den Antibiotika aufweisen, mit denen sie eigentlich behandelt werden sollen. Daher besteht akuter Bedarf an innovativen Antibiotika und an alternativen Forschungsansätzen, Krankheitserreger unschädlich zu machen. Dies stellt nicht nur eine Herausforderung für die Wissenschaft und Industrie dar, sondern auch für die Politik. Daher spielt dieses Thema nicht nur auf nationaler Ebene im Rahmen des Pharmadialogs der Bundesregierung mit Wissenschaft und Pharmaindustrie eine Rolle, sondern auch auf Ebene der G7- und G20-Staaten.

Effektive Pharmaforschung ist eine entscheidende Voraussetzung, um solchen globalen Bedrohungen begegnen zu können. Aber auch die demografische Entwicklung bringt enorme Herausforderungen mit sich: Die Zunahme der meist in fortgeschrittenem Alter auftretenden Krankheiten wie Alzheimer, Parkinson, Arthrose, Osteoporose und Demenz, aber auch Diabetes und Krebs, verlangt allein schon aus ökonomischen Gründen nach neuen Medikamenten und Therapien, da ansonsten die Kosten für Krankenhausbehandlungen und Pflegeleistungen exorbitant ansteigen. In diesem Kontext werden die Unternehmen auch den Wandel hin zur Personalisierten Medizin weiter vorantreiben, da diese Vorteile für die Patienten (schnellere Behandlung mit besserer Wirksamkeit oder Verträglichkeit), die Ärzte (gezielte Behandlung ohne längeres Herumprobieren) und die Kassen (höhere Kosteneffizienz) bietet. Hierfür sind Kooperationen mit der Diagnostik-Industrie unabdingbar.

Die Herausforderungen neuer komplexer Therapien verlangen aber auch nach der Zusammenarbeit mit anderen Bereichen der Medizintechnik und mit der IT-Branche sowie der Arbeit im Verbund von großen, kleinen und mittleren Unternehmen sowie Forschungsinstituten, um diese Aufgaben multiprofessionell und interdisziplinär anzugehen.

D) Hohe Forschungs- und Entwicklungsaufwendungen – risikoreiches Geschäftsmodell

Pro Medikament mit neuem Wirkstoff, das die Zulassung erreicht, muss eine Firma 1 bis 1,6 Milliarden US-Dollar aufwenden. Denn nur eins von rund neun neuen Medikamenten, die die Phase der klinischen Entwicklung erreicht haben, schafft es später auch bis zur Zulassung. Und obwohl die Kosten heute schon sehr hoch sind,

werden diese künftig noch weiter steigen. So wachsen die Zulassungsanforderungen ständig, und die Zulassung ist praktisch immer mit Auflagen für weitere Studien oder Register verbunden.

Seite 7/10

Mehrkosten verursachen aber nicht nur Auflagen der Zulassungsbehörden. Auch die länderspezifischen Nutzen- oder Kosten-Nutzen-Bewertungen nach der Zulassung, von denen die Erstattungsfähigkeit der Präparate abhängt, verursachen wachsende Kosten, etwa für die Erstellung länderspezifischer Dossiers zu den Präparaten sowie möglicherweise zusätzlichen Studien.

Schließlich nimmt auch das Entwicklungsrisiko bei der Erschließung neuer Anwendungsgebiete zu, da es hier größtenteils um komplexe Krankheiten wie beispielsweise Alzheimer geht. Nicht zuletzt treiben die langen Entwicklungszeiten ebenfalls die Kosten. Die Entwicklung eines Medikaments mit neuem Wirkstoff dauert bis zur Zulassung im Schnitt 13,5 Jahre; alle Prognosen für kürzere Entwicklungszeiten haben sich bisher als unzutreffend erwiesen, unter anderem da mehr und komplexere Studien für die Zulassung und die anschließenden Erstattungsverhandlungen notwendig geworden sind.

E) Welche Rahmenbedingungen werden benötigt, um den Innovationskreislauf zu erhalten und zu stärken – Empfehlungen von vfa und vfa bio

Innovationen brauchen Anerkennung und Wertschätzung. vfa und vfa bio setzen sich dafür ein, den Mehrwert innovativer Medikamente mit Blick auf den patientenindividuellen sowie gesamtgesellschaftlichen Nutzen zu verdeutlichen. Dies soll Verständnis für die erforderliche Wertschätzung von Innovationen – basierend auf dem nach wie vor hohen „unmet medical need“ in vielen medizinischen Anwendungsgebieten – ermöglichen.

In diesem Kontext setzen sich vfa und vfa bio für eine ausgewogene (Zusatz-)Nutzenbewertung innovativer Medikamente ein, die dem Wert des Arzneimittels Rechnung trägt und z.B. auch Verbesserungen bzw. Einsparungen in anderen Sektoren wie der Pflege oder der Rentenversicherung mitberücksichtigt (Stichwort: *value based healthcare* und gesamtgesellschaftliche Betrachtung). Hierfür streben vfa und vfa bio ein kooperatives Miteinander mit allen im Gesundheitswesen beteiligten Partnern – inklusive der Patienten – an, denn nur über einen solchen Weg werden sich neben den innovativen Medikamenten auch innovative Lösungen im Gesundheitswesen zum Wohle für die Patienten anbieten lassen. Und das ist mit Blick auf die Verfügbarkeit und den Zugang von Patienten zu künftigen Innovationen von entscheidender Relevanz.

Nur wenn Innovationen wertgeschätzt und angemessen honoriert werden, werden die forschenden Pharma- und Biotech-

Unternehmen ihrerseits Mittel und Gelder in die Erforschung neuer Therapieansätze und innovativer Medikamente investieren können. Aus diesen können wiederum neue therapeutische Optionen zum Nutzen für betroffene Patienten und gleichermaßen neue Einnahmen für die Unternehmen resultieren, die ihrerseits dann in Forschungs-, Entwicklungs- und Produktionsaktivitäten reinvestieren können. So wird der Innovationskreislauf erhalten und gestärkt, der anderenfalls zusammenbrechen würde, wenn ein Teil dieses Kreislaufs herausgenommen oder entscheidend geschwächt würde.

Seite 8/10



Der Innovationskreislauf: Nur wenn alle Partner im Gesundheitswesen an einem Strang ziehen, lassen sich innovative Lösungen zum Wohle der Patienten, der Gesellschaft und des Standorts Deutschland realisieren (Quelle: Medizinische Biotechnologie in Deutschland 2019, vfa bio/BCG).

Die Neugierde der Forscher, neue Ansätze zu erkunden und die Grundlage für neue Produkte zu schaffen, stellt die Basis für jeden Fortschritt dar und ist immanent verbunden mit technologischen Weiterentwicklungen. So hat sich jede Branche über die letzten Dekaden kontinuierlich weiterentwickelt und ist bei den Automobilen ebenso wenig beim VW-„Brezelkäfer“ mit dem Stand der Technik aus dem Jahr 1946 stehengeblieben wie bei den Computern beim C64 aus dem Jahr 1982.

Die forschende Pharma- und Biotech-Industrie setzt sich im gesellschaftlichen Dialog mit allen relevanten Stakeholdern aktiv ein:

- für die Akzeptanz und Wertschätzung von Innovationen,
- für eine ausgewogene Nutzen-Risiko-Bewertung dieser Innovationen und

- für den Erhalt sowie die Stärkung des Innovationskreislaufs durch adäquate Anreize.

Seite 9/10

Die folgenden Handlungsempfehlungen richten sich an die Politik und erstrecken sich auf alle Bereiche der Wertschöpfungskette inkl. der Finanzierung von Biotech-Start-ups sowie der Erstattung innovativer Therapien:

- Verbesserung der naturwissenschaftlichen Ausbildung und der Kenntnisse im Bereich IT/KI
- Verbesserung der Rahmenbedingungen für klinische Forschung, z.B. durch eine weitere Harmonisierung der Antragsverfahren, eine Beschleunigung der Vertragsgestaltung bei klinischen Prüfungen und mehr personelle Ressourcen bei den Zulassungsbehörden und Ethik-Kommissionen, um Studiengenehmigungen beschleunigen zu können
- Verbesserung der steuerlichen Rahmenbedingungen insbesondere für kleine, forschungsintensive Unternehmen und eine größere Bandbreite an Kapitalgebern, um das Wachstum von Biotech-Start-ups finanzieren zu können
- Sicherung des geistigen Eigentums, da hierauf das Geschäftsmodell der Pharma/Biotech-Firmen basiert
- Verzicht auf innovationsfeindliche Maßnahmen in der Gesundheitspolitik.

Diese Maßnahmen können jedoch nur erfolgreich sein, wenn sie in ihrer Gesamtheit und in sich konsistent umgesetzt werden. Deutschland braucht deshalb eine nationale Forschungs- und Biotech-Strategie aus einem Guss, die gemeinsam von den Bundesministerien für Gesundheit, Forschung und Wirtschaft formuliert und umgesetzt wird; nur so ist eine optimale Nutzung verfügbarer finanzieller sowie struktureller Ressourcen und ein Aufrechterhalten des Innovationskreislaufes möglich.

Maßnahmen der Bundesregierung wie die Hightech-Strategie, die Agenda "Von der Biologie zur Innovation", die "Dekade gegen Krebs" und die Agentur für Sprunginnovationen können – bei richtiger, kraftvoller und nachhaltiger Ausgestaltung – helfen, Deutschland kompetitiv zu positionieren und zukunftsfähig zu machen. Nur dann wird auch künftig der Innovationskreislauf zum Nutzen für die Patienten, die Gesellschaft und den Standort Deutschland funktionieren.

Denn pharmazeutische Innovationen haben Vorteile für

- die **Patienten** mit schweren und/oder chronischen Erkrankungen, weil ihnen neue therapeutische Optionen Linderung oder gar Heilung ermöglichen könnten,
- **alle Menschen**, weil Impfstoffe helfen, Infektionskrankheiten zu verhüten

- die **Gesellschaft**, weil neue Therapien helfen können, die Kosten für Arbeitsunfähigkeit bzw. Pflege zu senken und
- den **Standort Deutschland**, nicht zuletzt hinsichtlich des Erhalts und weiteren Ausbaus hoch qualifizierter Arbeitsplätze in einer zukunftssträchtigen, innovativen Industrie.

Seite 10/10

Stand: Oktober 2020