

Bilanz über neu zugelassene Arzneimittel: Beleg für Innovationskraft und Wert für Gesellschaft

Wien, 2. April 2019 | Arzneimittelentwicklung dauert Jahre, ist mit einem hohen Risiko des Scheiterns verbunden und verursacht enorme Kosten. Dennoch investieren Pharmaunternehmen weltweit Milliarden in Forschung & Entwicklung – allein in Europa 34 Mrd. € pro Jahr. Die Früchte dieses Investments präsentieren die Österreichische Agentur für Gesundheit und Ernährungssicherheit (AGES) und das Forum der forschenden pharmazeutischen Industrie in Österreich (FOPI) erstmals in einer Innovationsbilanz.

„Arzneimittelentwicklung gleicht einem Marathonlauf“, zieht Ingo Raimon, Präsident des FOPI, einen Vergleich, „nur wenige Kandidaten schaffen es in diesem Wettbewerb über die Ziellinie. Doch diese bedeuten einen signifikanten Fortschritt für die PatientInnen, und zwar insbesondere für jene mit einem noch ungedeckten medizinischen Bedarf.“ 41 solcher neuen Wirkstoffe wurden im Jahr 2018 von der Europäischen Kommission auch für Österreich zugelassen, darunter elf Krebsmedikamente, fünf Arzneimittel für lebensbedrohliche Blutgerinnungsstörungen, fünf Medikamente für seltene Erkrankungen (so genannte Orphan Drugs) sowie zwei innovative HIV-Therapien.

Nach Klassen unterteilt entfallen 41% der neuen Wirkstoffe auf small molecules, 32% stellen monoklonale biotechnologische Antikörper, 20% sind Biotech-Therapien und 7% Gen-Therapien. „Allein in den letzten drei Jahren wurden deutlich über 100 neue Arzneimittel zugelassen“, sagt Christa Wirthumer-Hoche, Leiterin des Geschäftsfelds Medizinmarktaufsicht der AGES. „Das ist ein starkes Signal für die Innovationskraft der Branche.“

Neue Arzneimittel mit hohem therapeutischem Nutzen

Beispielhaft für die Arzneimittel-Innovationen des vergangenen Jahres können aus Sicht der AGES drei Wirkstoffe stehen:

- Emicizumab – ein Präparat, das bei der Blutgerinnungsstörung Hämophilie A zum Einsatz kommt und mittels eines bispezifischen Antikörpers den aktivierten Blutgerinnungs-Faktor IX und Faktor X verbindet. Emicizumab ahmt die Funktion des Faktor VIII nach, und der Ablauf der Gerinnungskaskade ist wieder möglich. Es kommt bei Hämophilie A-PatientInnen jeden Alters zum Einsatz – auch bei jenen, die bereits Hemmkörper gegen Faktor VIII entwickelt haben und daher auf die bereits bestehenden Therapien nicht mehr ansprechen.
- Axicabtagen-Ciloleucel (Axi-cel) bzw. Tisagenlecleucel (Tisa-cel) – zwei Onkologika aus dem neuen Bereich der CAR-T-Zelltherapie. Tisa-cel wird bei Blutkrebs (Leukämie) und Lymphdrüsenkrebs (Lymphom) angewendet und Axi-cel bei Lymphomerkrankungen. Dabei werden den PatientInnen eigene Abwehrzellen (T-Zellen) entnommen. Diese werden dann im Labor gentechnologisch modifiziert und anschließend den Betroffenen wieder zugeführt (reinfundiert). Im Körper der PatientInnen erkennen diese veränderten Abwehrzellen dann die Krebszellen und können diese gezielt angreifen.

- Burosumab – ein Medikament im Bereich der seltenen Erkrankungen (Orphan Drug), das bei X-linked Phosphatdiabetes, einer angeborenen Mutation, Anwendung findet. Das Besondere an diesem Wirkstoff ist, dass nun erstmals auch eine direkte, kausale Therapie für Kinder mit dieser angeborenen Erkrankung möglich ist, die unbehandelt zu schwer behinderndem Kleinwuchs, Rachitis-Knochenverformungen und starken Schmerzen führt. Burosumab betätigt über einen komplexen Mechanismus jenen Schalter, der den krankheitsauslösenden Phosphatverlust in der Niere ausschaltet und somit den Phosphatspiegel kausal erhöht.

Hohes Investment für Forschung & Entwicklung

„Es gibt weiterhin Erkrankungen, in denen es hohen medizinischen Bedarf gibt. Sei es nun, dass dort bisher unzureichend Behandlungsmöglichkeiten oder dass mitunter sogar gar keine Therapieoptionen vorhanden sind“, unterstreicht Ingo Raimon die Notwendigkeit für pharmazeutische Forschung. „Aktuell befinden sich über 7.000 Arzneimittel in der Forschung und Entwicklung. Und schon in diesem Jahr erwarten wir, dass 30 neue Medikamente die Zulassung erhalten.“ Der Schwerpunkt liegt derzeit im Bereich der Krebserkrankungen, der Immunerkrankungen sowie der neurologischen Erkrankungen wie Alzheimer oder Migräne. Zudem werden neue Antibiotika auf den Markt kommen sowie Medikamente für die Behandlung von Blutgerinnungsstörungen und Stoffwechselerkrankungen. Zugleich sind viele der genannten Indikationen auch „seltenen Erkrankungen“ zuzuordnen.

„Der Weg von der Erfindung eines Wirkstoffkandidaten zum zugelassenen Arzneimittel ist aber weit“, betont Ingo Raimon. Nur ein bis zwei von 10.000 Substanzen schaffen es von der Entdeckung bis zur Marktreife. Bis zur Markteinführung eines neuen Medikaments vergehen im Schnitt 12 bis 13 Jahre, allein 3 bis 4 Jahre davon machen klinische Studien aus. Die Gesamtkosten für die Entwicklung eines neuen Arzneimittels betragen im Schnitt 2,2 Mrd. €. Das ist das Vierzehnfache des Wertes, der noch in den 70er- bzw. frühe 80er Jahren aufgewendet wurde.

Weltweit sind über 9.000 klinische Studien im Laufen, rund 4.000 davon in Europa. Diese klinischen Studien sind unverzichtbar für die Zulassung und werden überwiegend von der Industrie finanziert. Der Schwerpunkt der klinischen Forschung liegt mit 198 Studien und großem Abstand auf der Onkologie, gefolgt von der Kardiologie mit 42 Studien und der Neurologie mit 39 Studien (Zahlen aus 2017 für Österreich).

Diesem aufwändigen Prozess entsprechend sind die Ausgaben für Forschung & Entwicklung außerordentlich hoch: So investiert die europäische Pharmaindustrie insgesamt fast 34 Mrd. € pro Jahr, die Pharmaunternehmen in Österreich 294 Mio. € jährlich. Das bringt die Pharmaindustrie in die Position des Spitzenreiters hinsichtlich F&E-Quote. Denn die Pharma- und Biotech-Industrie gibt mit 15% des Umsatzes den höchsten Anteil aller Hochtechnologiesektoren für Forschung aus – deutlich vor der Software-, der Hardware- oder der Autoindustrie.

Hohe Bedeutung Österreichs im europäischen Zulassungsprozess

„Die Bedeutung von Arzneimittel-Innovationen wird oft unterschätzt“, meint Christa Wirthumer-Hoche, „sowohl in ihrem Wert für PatientInnen und das Gesundheitssystem als auch in ihrem Stellenwert für den Medizin-Standort Österreich.“

Die AGES nimmt übrigens im zentralen europäischen Zulassungsprozess eine besondere Rolle ein. Allein letztes Jahr erhielt die AGES für 18 Zulassungsverfahren den Zuschlag, die Hauptbegutachtung federführend vorzunehmen – für 15 als so genannter Rapporteur, für weitere drei als Co-Rapporteur (jeweils in multinationalen Gutachter-Teams). Damit liegt die österreichische Institution im Bereich Begutachtung für zentrale Zulassungsverfahren im Vergleich aller EU-Staaten auf dem sensationellen vierten Platz. Nur Schweden, Niederlande und Dänemark begutachten noch mehr Verfahren. „Dies unterstreicht auch die Geltung des Medizin- und Forschungsstandortes Österreich, die nicht aufs Spiel gesetzt werden darf“, ergänzt dazu Ingo Raimon.

Fotos

Fotos von der Pressekonferenz finden Sie unter <https://www.apa-fotoservice.at/galerie/17887>

Über AGES

Die AGES Medizinmarktaufsicht ist für eine Vielzahl von Aufgaben in Zusammenhang mit der Arzneimittelzulassung, der klinischen Prüfung von Arzneimitteln und Medizinprodukten, der Pharmakovigilanz und Vigilanz im Bereich der Medizinprodukte und mit dem Inspektionswesen verantwortlich. Auftraggeber und Eigentümer ist die Republik Österreich, vertreten durch das Bundesministerium für Arbeit, Soziales, Gesundheit und Konsumentenschutz (BMASGK). Die Medizinmarktaufsicht beschäftigt rund 280 MitarbeiterInnen.

Die Medizinmarktaufsicht ist nach ISO 9001 zertifiziert, zusätzlich sind Prüftätigkeiten des amtlichen Arzneimitteluntersuchungslabors (OMCL) durch die Akkreditierung Austria anerkannt. Mit dem Vollzug der hoheitlichen Aufgaben, die mit der Arbeit der Medizinmarktaufsicht zusammenfallen, ist das Bundesamt für Sicherheit im Gesundheitswesen (BASG) betraut, eine nachgeordnete Behörde des BMASGK.

Über FOPI

Das Forum der forschenden pharmazeutischen Industrie FOPI ist die österreichische Interessenvertretung von 28 internationalen Pharmaunternehmen mit Fokus auf Forschung und Entwicklung. Als Partner im Gesundheitswesen setzt sich das FOPI für den Zugang zu innovativen Arzneimitteln und damit für die bestmögliche medizinische Versorgung in Österreich ein. Im Dialog mit Patientenorganisationen, Verschreibern und Kostenträgern trägt das FOPI dazu bei, drängende gesellschaftliche Probleme zu lösen. In Summe beschäftigen die FOPI-Mitgliedsunternehmen über 11.200 MitarbeiterInnen in Österreich – das entspricht nahezu zwei Drittel aller Beschäftigten in der Pharmawirtschaft und unterstreicht die Bedeutung der FOPI-Mitgliedsunternehmen.

Für weitere Informationen kontaktieren Sie bitte:

FOPI

Mag. Judith Kunczier

Tel.: +43 664 60 589 340

Mail: presse@fopi.at

Bundesamt für Sicherheit im Gesundheitswesen (BASG)

Dr. Christoph Baumgärtel

Tel: +43 (0) 50 555 36004

Mail: christoph.baumgaertel@basg.gv.at