

Seltene Krankheiten

# Zu wenig Medikamente gegen seltene Krankheiten

**Gastkommentar**

von ALECS RECHER

Seltene Krankheiten treffen, so die gesetzliche Definition, höchstens fünf von zehntausend Einwohnenden und wirken sich lebensbedrohend oder chronisch invalidisierend aus. So wie beispielsweise die zu frühkindlichem Tod führende Atelosteogenese oder EPP, eine stark schmerzhafte Lichtunverträglichkeit. Die Betroffenen suchen oft jahrzehntelang nach der richtigen Diagnose. Auf diese folgt meist die Hiobsbotschaft: Eine Therapie existiert nur selten. Bis jetzt sind nur für wenige hundert der rund 7 000 bekannten seltenen Krankheiten Arzneimittel, sogenannte Orphan-Drugs, verfügbar.

Dieser Versorgungsmangel beruht einerseits darauf, dass die Seltenheit der Krankheit auch die Arzneimittelforschung erschwert. So finden sich für klinische Studien meist nur dann genügend Teilnehmer, wenn internationale Forschungskoperationen gelingen. Diese sind aber aufwendig und komplex. Überdies sind Orphan-Drugs unter normalen Marktbedingungen ökonomisch uninteressant. Denn die Kosten für Forschung und Entwicklung lassen sich durch den kleinen Abnehmerkreis nur bei hohen Preisen decken. Hohe Preise können jedoch wiederum dazu führen, dass die Krankenversicherungen das Medikament mangels Wirtschaftlichkeit nicht übernehmen, so dass den Patientinnen die Behandlung und der Pharmaindustrie der Return on Investment verwehrt bleiben.

Auf die medizinische Unterversorgung von Menschen mit seltenen Krankheiten antwortete als erster im Jahr 1983 der amerikanische Gesetzgeber: Ein System staatlicher Anreize, in dessen Mittelpunkt eine mehrjährige Marktexklusivität steht, sollte die Orphan-Drug-Forschung fördern. Diese «Orphan Drug Act» war so erfolgreich, dass sie diverse Staaten und die EU in angepasster Version übernahmen.

Auch das Schweizer Heilmittelrecht enthält erste Förderungsinstrumente. So existiert ein vereinfachtes Zulassungsverfahren, und gewisse Gebühren können erlassen werden. Die Politik ist sich darüber einig, dass mit der laufenden Revision des Heilmittelgesetzes weitere Anreize für die Erforschung von Orphan-Drugs geschaffen werden sollen. Doch ob hierzu der Unterlagenschutz verlängert werden sollte oder, wie in den USA und der EU, doch eher die Marktexklusivität gestärkt werden müsste, ist umstritten. Der Unterlagenschutz bewirkt, dass die im Zulassungsverfahren eingereichten Unterlagen unter Verschluss gehalten werden. Marktexklusivität hingegen erlaubt es, nur gegenüber der ersten Orphan-Drug klinisch über-

legene Konkurrenzprodukte für den Markt zuzulassen.

Mit Blick auf die notwendigerweise internationale Forschung ist unser Recht mit dem des umgebenden Europas zu harmonisieren. Da sich die Marktexklusivität bereits in den USA und der EU als erfolgreich erwies, sollte auch die Schweiz auf diese Lösung setzen. Mit dem verlängerten Unterlagenschutz eine Schweizer Sonderregelung zu schaffen, ist nicht sinnvoll.

Kritiker der Marktexklusivität stossen sich an den teilweise satten Gewinnen der Pharmaindustrie. Zu erarbeiten sind daher Kompromisslösungen, die nicht nur dem dringenden Bedarf nach wirksamen Forschungsanreizen gerecht werden, sondern auch den unerwünschten Nebenwirkungen der Marktexklusivität begegnen. Anregungen bieten wiederum die USA und die EU.

Erstens könnten, analog dem EU-Recht, im Marktzulassungsverfahren, also bevor ein Medikament exklusiv für den Markt zugelassen wird, die Voraussetzungen für die Anerkennung als Orphan-Drug und damit namentlich die Seltenheit erneut überprüft werden. Fallen diese Voraussetzungen erst später weg, sollte zudem die Marktexklusivität verkürzt werden können.

Zweitens ist denkbar, dass der Gesetzgeber die aus dem Verkauf von Orphan-Drugs zu erzielenden Gewinne einschränkt und so die gewährten Anreize kompensiert. Vorbild könnten hier die im US-Parlament vorgeschlagenen Anreizbeschränkungen oder Gewinnbesteuerungen bei Überschreiten einer definierten Gewinnmarge sein.

Und drittens könnte die staatliche Preisfestsetzung regulierend auf die oft hohen Preise einwirken. Denkbar wäre, dass man für die Orphan-Drugs ein eigenes Preisberechnungssystem einführt, das beispielsweise auf den Herstellungskosten basiert, oder dass man Preissenkungen erzwingt, wenn eine bestimmte Gewinnmarge überschritten wurde.

Orphan-Drugs sind in der gesamten Versorgung von Menschen mit seltenen Krankheiten nur ein Mosaiksteinchen – doch eines, das über Leben oder Tod entscheiden kann. Es ist zu hoffen, dass sich das Parlament auf einen wirksamen Vorschlag einigt, der die unterschiedlichen Interessen differenziert berücksichtigt.

Alecs Recher promoviert im Rahmen eines Nationalfondsprojektes an der Universität Luzern zu Rechtsfragen der Orphan-Drug-Entwicklung.