



## Zum Tag der seltenen Erkrankungen am 28.02.13: Pharmaforscher arbeiten unbeirrt für Patienten mit seltenen Erkrankungen

Zum Tag der seltenen Erkrankungen am 28.02.13: Pharmaforscher arbeiten unbeirrt für Patienten mit seltenen Erkrankungen  
"Forschende Pharmafirmen entwickeln Medikamente gegen seltene Krankheiten, auch wenn das in der deutschen Gesundheitspolitik nicht allseits begrüßt wird. Rund 80 solcher Medikamente stehen seit dem Jahr 2000 den schwer erkrankten Betroffenen zur Verfügung; und weitere zehn Mittel könnten 2013 dazu kommen. Die Firmen entsprechen damit den Forderungen von Patienten und Selbsthilfegruppen, Ärzten, Politik und der EU-Kommission nach verstärktem Engagement gegen seltene Krankheiten." Das sagt Dr. Siegfried Throm, Geschäftsführer Forschung/Entwicklung/ Innovation des Verbands der forschenden Pharma-Unternehmen (vfa), am heutigen Tag der Seltenen Erkrankungen, dem 28. Februar 2013. Medikamente gegen Krankheiten, an denen nicht mehr als einer von 2.000 EU-Bürgern leidet, können unter bestimmten Bedingungen von der EU den sogenannten Orphan-Drug-Status erhalten. "Nicht alle wissen, dass der Orphan Drug-Status nur dann vergeben wird, wenn das betreffende Mittel im EU-Zulassungsverfahren auch einen Zusatznutzen gegenüber der Vergleichstherapie gezeigt hat", erläutert Throm. Das sei auch die Grundlage dafür, dass in Deutschland die frühe Nutzenbewertung für Orphan Drugs mit leicht abgewandeltem Verfahren durchzuführen ist. Eine Quantifizierung des Zusatznutzens wie auch Verhandlungen mit den Krankenkassen um den Erstattungsbetrag seien trotzdem vorgesehen, weshalb Mutmaßungen abwegig seien, Firmen könnten sich auf Orphan-Medikamente konzentrieren, um im AMNOG vorgesehene Prüfungen und Verhandlungen zu umgehen. Unlängst hat der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) den Vorschlag ins Spiel gebracht, Orphan Drugs schon ab einem Jahresumsatz von 30 Millionen Euro (bisher 50 Millionen Euro) dem gewöhnlichen Nutzenbewertungsverfahren zu unterziehen. Dazu Throm: "Der für Orphan Drugs im Zulassungsverfahren geprüfte Zusatznutzen ist doch nicht abhängig vom Umsatz! Das Bewertungsverfahren von einer Umsatzgrenze abhängig zu machen, war und ist unlogisch und willkürlich." Die Wahrscheinlichkeit, dass ein neues Orphan-Medikament zu einem ernsthaften Kosten-Posten für die GKV wird, ist gering. Denn viele Orphan Drugs sind für Krankheiten zugelassen, an denen in der gesamten EU nur circa 1.000 Patienten leiden. Zudem: Was die Krankenkassen letztlich für ein Orphan-Medikament bezahlen, wird genau wie bei den übrigen Arzneimitteln mit Zusatznutzen auf dem Verhandlungsweg festgelegt." Throm abschließend: "Alle, die wie der vfa am Nationalen Aktionsbündnis für Menschen mit Seltenen Erkrankungen (NAMSE) beteiligt sind, sollten sich auf eine bessere Versorgung von Menschen mit Seltenen Erkrankungen statt auf Bewertungsprozeduren konzentrieren. Angesichts der vielen zu oft nicht diagnostizierten oder noch gar nicht behandelbaren Krankheiten gibt es da noch viel zu tun!" Unter [www.vfa.de/orphans](http://www.vfa.de/orphans) finden sich alle zugelassenen Medikamente, die derzeit in Deutschland den Orphan Drug-Status haben. Unter [www.vfa.de/orphan-drug-status](http://www.vfa.de/orphan-drug-status) finden sich nähere Angaben zu den Modalitäten des Orphan-Drug-Status. Der vfa ist der Verband der forschenden Pharma-Unternehmen in Deutschland. Er vertritt die Interessen von 44 weltweit führenden Herstellern und ihren über 100 Tochter- und Schwesterfirmen in der Gesundheits-, Forschungs- und Wirtschaftspolitik. Die Mitglieder des vfa repräsentieren rund zwei Drittel des gesamten deutschen Arzneimittelmarktes und beschäftigen in Deutschland mehr als 80.000 Mitarbeiter. Mehr als 18.000 davon arbeiten in Forschung und Entwicklung. Folgen Sie uns auf Twitter: [www.twitter.com/vfapharma](https://twitter.com/vfapharma)  
Verband Forschender Arzneimittelhersteller (VFA)  
Hausvogteiplatz 13  
10117 Berlin  
Deutschland  
Telefon: 49 (0) 30/2 06 04-203  
Telefax: 49 (0) 30/2 06 04-209  
Mail: [info@vfa.de](mailto:info@vfa.de)  
URL: <http://www.vfa.de>

### Pressekontakt

Verband Forschender Arzneimittelhersteller (VFA)

10117 Berlin

[vfa.de](http://vfa.de)  
[info@vfa.de](mailto:info@vfa.de)

### Firmenkontakt

Verband Forschender Arzneimittelhersteller (VFA)

10117 Berlin

[vfa.de](http://vfa.de)  
[info@vfa.de](mailto:info@vfa.de)

Der Verband Forschender Arzneimittelhersteller e. V. (VFA) ist der Wirtschaftsverband der forschenden Arzneimittelhersteller in Deutschland. Er vertritt die Interessen von 39 weltweit führenden forschenden Arzneimittelherstellern und über 100 Tochter- und Schwesterfirmen in der Gesundheits-, Forschungs- und Wirtschaftspolitik. Die Mitglieder des VFA repräsentieren mehr als zwei Drittel des gesamten deutschen Arzneimittelmarktes und beschäftigen in Deutschland rund 86.000 Mitarbeiter. Sie gewährleisten den therapeutischen Fortschritt bei Arzneimitteln und sichern das hohe Niveau der Arzneimitteltherapie. Mehr als 14.500 ihrer Mitarbeiter sind in Deutschland für die Erforschung und Entwicklung von Arzneimitteln tätig. Allein in Deutschland investieren die forschenden Arzneimittelhersteller jährlich über 3,9 Mrd Euro in die Arzneimittelforschung für neue und bessere Medikamente.