

Antwort

der Bundesregierung

**auf die Kleine Anfrage der Abgeordneten Dr. Martin Mayer (Siegertsbrunn),
Wolfgang Zöller, Ilse Aigner, weiterer Abgeordneter und der Fraktion der CDU/CSU
– Drucksache 14/2402 –**

Forschung für Arzneimittel gegen seltene Krankheiten (Orphan-Medikamente)

Weltweit existieren etwa 30 000 Krankheiten, von denen ungefähr 5 000 selten auftreten. Die Entwicklung entsprechender Arzneimittel ist wegen des relativ geringen Weltmarktes betriebswirtschaftlich in der Regel nicht interessant, zumal der Entwicklungsaufwand bis 500 Mio. US-Dollar beträgt. 1983 wurde deshalb in den USA zur Stimulierung dieser Arzneimittel gegen seltene Krankheiten („orphan drugs“ / Orphan-Medikamente) ein Gesetz geschaffen, das erheblich zur weiteren Entwicklung von neuen Arzneimitteln gegen seltene Krankheiten beigetragen hat. Eine wirtschaftliche Nebenwirkung war auch die Stimulierung kleiner und mittlerer Unternehmen (KMU) der Biotechnik, die nach Angaben der FDA (Genehmigungsbehörde in den USA) die meisten seit 1983 genehmigten Orphan-Medikamente auf den Markt brachten. In der Europäischen Union (EU) ist eine ähnlich einheitliche Regelung vor der Verabschiedung, sie soll ergänzt werden durch nationale Maßnahmen.

1. Wann gelten Krankheiten in Deutschland, der EU und den USA als selten und wie viele solcher Krankheiten sind weltweit bekannt?

Auf europäischer Ebene sind Aktionsprogramme zur Unterstützung der Erforschung seltener Krankheiten in Angriff genommen worden (s. hierzu Antwort zu Frage 5). Sie stufen eine Krankheit als selten ein, wenn sie nach allgemeiner Erkenntnis in der Gemeinschaft bei weniger als 5 von 10 000 Personen auftritt. In der demnächst in Kraft tretenden EU-Verordnung über Arzneimittel für seltene Leiden ist aus Kohärenzgründen dem epidemiologischen Ausweisungskriterium eines Arzneimittels als Orphan-Präparat der gleiche Richtwert zugrunde gelegt worden. Dieser Richtwert der EU liegt unter dem in den USA im US-Orphan Drug Act festgesetzten Wert von 7,5 pro 10 000 Personen. Wie viele Krankheiten nach den Kriterien der EU oder der USA als selten einzustufen sind, konnte nicht ermittelt werden (s. auch Antwort zu Frage 3).

Die Antwort wurde namens der Bundesregierung mit Schreiben des Bundesministeriums für Gesundheit vom 30. Dezember 1999 übermittelt.

Die Drucksache enthält zusätzlich – in kleinerer Schrifttype – den Fragetext.

2. Wie viele Menschen sind in Deutschland, der EU und den USA an solchen seltenen Krankheiten erkrankt?

Der Bundesregierung liegen derzeit keine genauen Angaben dazu vor, wie viele Menschen in Deutschland bzw. der EU an seltenen Krankheiten erkrankt sind. Ob solche Daten für die USA vorliegen, konnte aus Zeitgründen nicht in Erfahrung gebracht werden.

Mit dem Aktionsprogramm der Gemeinschaft betreffend seltene Krankheiten sollen unter anderem Maßnahmen gefördert werden, die die Datenlage verbessern (s. auch Antwort zu Frage 5).

3. Wie beurteilt die Bundesregierung die Regelungen für Orphan-Medikamente in den USA und welche Ergebnisse haben diese Regelungen bisher für genehmigte Medikamente gegen seltene Krankheiten gehabt.

Die Effizienz von Anreizen für die pharmazeutische Industrie zur Erforschung, Entwicklung und Vermarktung von Orphan-Medikamenten ist durch die Entwicklung in den USA, wo über die seit 1983 bestehenden gesetzlichen Regelungen (US-Orphan Drug Act) solche Anreize geschaffen wurden, hinreichend belegt. Die geplante EU-Verordnung über Arzneimittel für seltene Leiden (s. hierzu Antwort zu Frage 5) sieht ebensolche Regelungen vor. In den USA sind zwischen 1983 und 1998 ca. 170 Orphan-Medikamente zugelassen worden.

4. Wie beurteilt die Bundesregierung den Stand der Entwicklung von Arzneimitteln gegen seltene Krankheiten (Orphan-Medikamente) in Deutschland und in der EU?

In der zur Verfügung stehenden Zeit konnten keine Erhebungen durchgeführt werden, die eine hinlänglich zuverlässige Aussage über den Entwicklungsstand von Orphan-Medikamenten in Deutschland und in der EU hätten geben können.

5. Wie ist der Sachstand bei EU-einheitlichen Regelungen zu Orphan-Medikamenten („Orphan Medicinal Products“) und der Zeitplan für die Verabschiedung?

Mit dem Erlass einer EU-Verordnung für Arzneimittel für seltene Leiden, die Anreize für die pharmazeutische Industrie zur Erforschung, Entwicklung und Vermarktung von Orphan-Medikamenten vorsieht, ist noch in diesem Jahr oder Anfang Januar 2000 zu rechnen. Konkrete Maßnahmen der Verordnung sind u. a.: Marktzulassung nach dem zentralisierten Verfahren der Verordnung (EWG) Nr. 2309/93 des Rates vom 22. Juli 1993 (ABl. EG Nr. L 214 S.1), wobei ein teilweiser oder vollständiger Erlass der Zulassungsgebühren gewährt werden kann. Des Weiteren ist eine Marktexklusivität für eine Zeitdauer von 10 Jahren vorgesehen, in der ähnliche Arzneimittel für die gleiche Indikation nicht zugelassen werden dürfen. Ausgenommen sind Fälle, in denen der Erstanbieter dies gestattet oder nicht in der Lage ist, den Bedarf zu decken oder für den Fall, dass das Präparat des Zweitanbieters medizinische Vorteile bietet. Des Weiteren ist eine Beratung des Investors durch die EMEA im Hinblick auf z. B. Art und Umfang der durchzuführenden klinischen Prüfungen vorgesehen.

Flankierend zu diesen legislativen Maßnahmen für Orphan-Medikamente haben das Europäische Parlament und der Rat mit dem Beschluss Nr. 1295/1999/EG vom 29. April 1999 ein Aktionsprogramm der Gemeinschaft betreffend seltene Krankheiten innerhalb des Aktionsrahmens im Bereich der öffentlichen Gesundheit (1999 bis 2003) angenommen. Ziel dieses Programms ist es, in Abstimmung mit anderen Gemeinschaftsmaßnahmen, einen Beitrag zur Sicherstellung eines hohen Gesundheitsschutzniveaus im Bereich seltener Krankheiten u. a. durch eine Verbesserung des einschlägigen Fachwissens zu erreichen.

Dazu sollen insbesondere folgende Maßnahmen gefördert werden:

1. Aufbau eines europäischen Informationsnetzes für seltene Krankheiten
2. Ausbildung in der Bekämpfung seltener Krankheiten
3. grenzüberschreitende Zusammenarbeit bei der Bekämpfung seltener Krankheiten
4. Cluster seltener Krankheiten: Beobachtung, Überwachung und Frühwarnung.

Der Finanzrahmen für die Durchführung des Programms ist für den o. a. Zeitrahmen auf 6,5 Mio. EUR festgelegt worden.

6. Welche Rolle spielt insbesondere die europäische Genehmigungsbehörde EMEA (London) bei der Betreuung klinischer Versuche und der Förderung von Orphan-Medikamenten?

Wie in der Antwort zu Frage 5 dargestellt, ist in der demnächst in Kraft tretenden EU-Verordnung ein zentrales Zulassungsverfahren (über die EMEA) vorgesehen mit ggf. vollständiger oder teilweiser Befreiung von den Zulassungsgebühren. Dieser Weg eröffnet automatisch einen Marktzugang zu allen 15 Mitgliedstaaten, ohne Nachweis der sonst üblichen nationalen Anforderungen. Des Weiteren ist eine wissenschaftliche Beratung des Investors durch die EMEA vorgesehen.

7. Welche ergänzenden Maßnahmen zur EU-Regelung plant die Bundesregierung im Einzelnen zu Orphan-Medikamenten?

In einer ressortübergreifenden Abfrage zu speziellen Regelungen, die als „sonstige Anreize“ in der (geplanten) EU-Verordnung über Arzneimittel für seltene Leiden von nationaler Seite vorgesehen werden können, hat das Bundesministerium für Bildung und Forschung mitgeteilt, dass z. z. im Rahmen des Gesundheitsforschungsprogramms der Bundesregierung eine spezielle Maßnahme zur Förderung der Erforschung seltener Erkrankungen vorbereitet wird; die entsprechende Ausschreibung wird im Jahr 2000 erfolgen. Die Maßnahme wird nicht auf eine unmittelbare Förderung der pharmazeutischen Industrie zur Entwicklung von Orphan-Präparaten ausgerichtet sein.

Das Bundesministerium der Finanzen hat mitgeteilt, dass es eine Förderung der Entwicklung von Orphan-Arzneimitteln über steuerrechtliche Sonderregelungen nicht befürworten kann.

8. Wie beurteilt die Bundesregierung die amerikanische Erfahrung, dass die meisten der von der FDA genehmigten Orphan-Medikamente von KMU kamen im Hinblick auf entsprechende Förderung in Deutschland?

Seltene Krankheiten sind zu einem großen Teil genetisch bedingt. Hieraus ergeben sich neue Tätigkeitsfelder v. a. für Biotechnologie-Unternehmen. Aus Sicht der Bundesregierung ergeben sich über die in der o. a. EU-Verordnung vorgesehenen Anreize zur Erforschung, Entwicklung und Vermarktung von Orphan-Medikamenten für alle, insbesondere jedoch auch für kleine und mittlere Unternehmen, neue Perspektiven.

9. Wie beurteilt die Bundesregierung die Chance, den Biotechnik-Standort Deutschland auch dadurch zu verbessern, dass die Fördermaßnahmen für Orphan-Medikamente auf kleine und mittlere Unternehmen konzentriert werden?

Wie sich schon aus der Antwort zu Frage 8 ergibt, sieht die Bundesregierung bei der Erforschung, Entwicklung und Vermarktung von Orphan-Medikamenten Chancen insbesondere auch für kleine und mittlere Unternehmen.

Die Bundesregierung misst der Förderung innovativer Technologien große Bedeutung bei. Mit einer Vielzahl von Förderprogrammen wird dabei insbesondere den spezifischen Bedürfnissen von kleinen und mittleren Unternehmen und Existenzgründern Rechnung getragen. An diesen Programmen partizipieren auch kleine und mittlere Biotech-Unternehmen in größerem Umfang.

10. Was gedenkt insbesondere das BMBF im Hinblick auf die Projektförderung von Orphan-Medikamenten bei kleinen und mittleren Unternehmen zu veranlassen?

Siehe hierzu Antwort zu Frage 7.

11. Wie beurteilt die Bundesregierung die Vergabe von Bürgschaften an KMU, die sich der Entwicklung von Orphan-Medikamenten widmen?

Kleinen und mittleren Unternehmen gilt die besondere Aufmerksamkeit der Bundesregierung im Rahmen ihrer wirtschaftspolitischen Grundkonzeption. Zum Ausgleich von Finanzierungsnachteilen dieser Unternehmen steht bundesweit das bewährte Bürgschaftsinstrumentarium von Bund und Ländern zur Verfügung. Voraussetzung hierfür ist insbesondere ein tragfähiges Unternehmenskonzept. Bei gegebener Tragfähigkeit können über Bürgschaften auch Finanzierungen zur Entwicklung und Herstellung von Orphan-Medikamenten gesichert werden.

Ansprechpartner sind für Bürgschaften bis zu 1,5 Mio. DM die Bürgschaftsbanken in den Ländern, die durch Rückbürgschaften von Bund und Ländern gefördert werden. Bei höherem Bürgschaftsbedarf stehen in den alten Bundesländern Bürgschaftsprogramme, in den neuen Bundesländern Bürgschaften aus dem von Bund und Ländern getragenen Bürgschaftsprogrammen der Deutschen Ausgleichsbank zur Verfügung.