

23.02.2023 – 09:32 Uhr

Therapien für seltene Erkrankungen: Wie gesetzliche Rahmenbedingungen Forschung und Entwicklung in Europa halten

Wien (ots) -

Im Schnitt dauert es zehn Jahre, bis ein Medikament zur Marktreife kommt. Im Bereich der Orphan Diseases gab es bislang dafür abgestimmte Rahmenbedingungen für Forschung und Entwicklung. Derzeit werden auf EU-Ebene zwei große Gesetzgebungen, die Orphan Medicinal Product Regulation und die General Pharmaceutical Legislation, signifikant überarbeitet, was der Entwicklung von Medizinischen Produkten im Bereich seltener Erkrankungen entgegen stehen könnte. Im Raum steht die Verkürzung des Schutzes vor Nachahmung. Die AOP Orphan Pharmaceuticals GmbH (AOP Health), ein österreichisches Pharmaunternehmen, das sich auf Therapielösungen im Bereich seltener Erkrankungen und in der Intensivmedizin spezialisiert hat, weist anlässlich des Rare Disease Day 2023 darauf hin, dass im Bereich der seltenen Erkrankungen Forschung in einer Nische mit speziellen Rahmenbedingungen stattfindet. Um die Forschung hier zu unterstützen, sind regulatorische und politische Maßnahmen wichtig.

Im Bereich der seltenen Erkrankungen gibt es oft nur eine Handvoll Erkrankter. Dennoch erfordern die Durchführung aussagekräftiger Studien und die Anforderungen an die Statistik oft eine sehr hohe Anzahl an Patient*innen. Da es häufig schwierig ist, diese zu finden, dauern klinische Studien und somit die Erforschung und Entwicklung der Therapien zunehmend länger, was die Kosten in die Höhe treibt. Die hohen Entwicklungskosten können nur mit der Hoffnung einer erfolgreichen Vermarktung gerechtfertigt werden. Wird diese durch die Kürzung des Schutzes vor Nachahmung vermindert, besteht die Gefahr, dass weniger für Patient*innen mit seltenen Erkrankungen geforscht wird und Therapien nur mehr eingeschränkt verfügbar sind.

Forschung und Entwicklung in Europa halten

Ein weiterer Aspekt der geplanten Neuerungen in der Gesetzgebung ist eine erstmals auf europäischer Ebene geplante Beurteilung der klinischen Daten als optionale Grundlage für die nationalen Kostenerstattungen von Medikamenten. Bis dato werden in jedem Land unterschiedliche Daten und Analysen gefordert, um die nationale Erstattung festzulegen.

Martin Steinhart, CEO von AOP Health, dazu: „Es wäre wichtig, dass die geplanten Änderungen der Gesetzgebung zur Vereinfachung der Prozesse und so zu einem schnelleren Zugang für Patient*innen zu neuen Medikamenten führen. Nur so kann der europäische Markt für Forschung und Entwicklung attraktiv bleiben.“

Versorgungssicherheit

Die Pandemie und die aktuellen wirtschaftlichen Herausforderungen haben gezeigt, dass es auch in Europa gemeinsamer Anstrengungen bedarf, um den Zugang zu wirksamen und sicheren Medikamenten sicherzustellen. AOP Health leistet seinen Beitrag dazu, in dem es seine Produktions- und Lieferkette sorgfältig aufbaut und kontrolliert und zu 80 Prozent in Europa produziert. Steinhart dazu: „Die kurzen Wege, aber auch die Tatsache, dass wir eine eigene Verpackungsanlage im Headquarter in Wien eröffnet haben, verleihen uns die Flexibilität, rasch und unbürokratisch auf die Versorgungssituation zu reagieren.“

Über seltene Erkrankungen

Laut Definition liegt eine seltene Erkrankung vor, wenn weniger als 5 von 10.000 Menschen von ihr betroffen sind. Derzeit sind an die 8.000 seltene Erkrankungen bekannt. Über die Hälfte davon betreffen Kinder.

Auch wenn einzelne seltene Erkrankungen nur wenige Menschen betreffen, sind es in Summe doch viele Menschen: Allein in Österreich leiden ca. 400.000 Menschen, das entspricht sechs bis acht Prozent der Bevölkerung, an seltenen Erkrankungen. Innerhalb der EU sind es geschätzte 30 Millionen Menschen, weltweit rund 300 Millionen Menschen.

Das Wissen über die Krankheitsbilder ist teilweise sehr gering, so dass der Weg zur Diagnose in vielen Fällen sehr langwierig ist. Bis zur richtigen Diagnose können bis zu 10 Jahre vergehen, was für die Betroffenen wegen ihrer unbehandelten Beschwerden, aber auch wegen der damit verbundenen Ungewissheit, häufig sehr belastend ist.

Rare Disease Day am 28. Februar

Am 28. Februar findet weltweit der Rare Disease Day mit dem Ziel statt, Bewusstsein für seltene Erkrankungen zu schaffen. AOP Health lädt aus diesem Anlass zu einem Vortragsabend mit anschließender Podiumsdiskussion. Gesundheitsexpertinnen, Vertreter*innen von Patient*innen-Organisationen, aber auch Forscher*innen berichten aus ihrer ihren jeweiligen Perspektiven, teilen Bewältigungsstrategien und informieren über neue Ansätze in Forschung und Entwicklung. Die Veranstaltung findet im Billrothhaus der Ärzte, Frankgasse 8, 1090 Wien statt und wird als Live-Stream übertragen. Beginn: 17.00 Uhr.

Um Anmeldung unter events@aop-health.com wird gebeten.

Unterlagen zum Thema finden Sie unter: <https://science.apa.at/medienkooperation/aop-health/>

Über AOP Health

Die AOP Health Group umfasst mehrere Unternehmen, darunter die AOP Orphan Pharmaceuticals GmbH mit Sitz in Wien, Österreich ("AOP Health"). Die AOP Health Group ist der europäische Pionier bei integrierten Therapien für Patient*innen mit seltenen Erkrankungen sowie in der Intensivmedizin. In den letzten 25 Jahren hat sich die Gruppe zu einem etablierten Anbieter von integrierten Therapielösungen entwickelt, der von seinem Hauptsitz in Wien, seinen Tochtergesellschaften und Repräsentanzen in ganz Europa und dem Nahen Osten sowie über Partner*innen weltweit tätig ist. Mit dem Claim „Needs. Science. Trust.“ wird die Grundlage des Erfolgs auf den Punkt gebracht: Vertrauen durch kontinuierlich hohe Investitionen in Forschung und Entwicklung und eine sehr konsequente und pragmatische Ausrichtung auf die Bedürfnisse aller Stakeholder*innen – insbesondere der Patient*innen und ihrer Angehörigen sowie der behandelnden Ärzt*innen.

Pressekontakt:

DI Isolde Fally
Isolde.Fally@aop-health.com
+43-676-500 4048

Diese Meldung kann unter <https://www.presseportal.ch/de/pm/100005851/100903298> abgerufen werden.