

# DAS GELDPROBLEM

## Medikamente sind in solchen Fällen sehr teuer. Was tun?

Text **Christian Heinrich**

**Z**u Beginn eine einfache Rechenaufgabe, die das Kernproblem der weltweit 400 Millionen Menschen mit einer seltenen Erkrankung verständlich macht, das Ergebnis der Aufgabe liefern wir gleich mit. Eine Milliarde geteilt durch 10.000 – ergibt 100.000. Eine Milliarde Euro kostet es häufig, ein Medikament bis zur Zulassung zu bringen. An vielen seltenen Erkrankungen leiden weltweit nicht einmal 10.000 Menschen. 100.000 Euro pro Patient müsste das Pharma- oder Biotech-Unternehmen also verdienen, um die Entwicklungskosten wieder hereinzuholen. Und das nur, wenn jeder Patient, den es gibt, mit dem Medikament zu diesem Preis behandelt würde. Vollkommen unrealistisch.

Je weniger Menschen an einer Erkrankung leiden, desto weniger interessant ist diese für die Pharmaforschung. Das ist einer der Gründe,

warum bislang für weniger als zehn Prozent aller seltenen Erkrankungen wirksame Therapien zur Verfügung stehen. In den deutschen und europäischen politischen Institutionen ist man sich dieser Herausforderung bewusst – und räumt den zugelassenen Therapien seltener Erkrankungen einige Vorteile ein. So können einer EU-Verordnung aus dem Jahr 2000 zufolge Arzneimittelhersteller ein

Medikament als »Orphan Drug« einstufen lassen – wörtlich übersetzt »Waisenmedikament« –, wenn es gegen eine seltene Erkrankung eingesetzt werden soll, die einen schweren Verlauf hat und bislang nicht ausreichend behandelt werden kann. Mit dem Orphan-Drug-Status sind eine Reihe von lukrativen Vorteilen verbunden, unter anderem ein zehnjähriges Marktexklusivitätsrecht. In dieser Zeit dürfen keine gleichwertigen Therapien auf den Markt gebracht werden. In Deutschland hat man mit dem Arzneimittelneuordnungsgesetz von 2011 weitere Anreize gesetzt. Anders als bei anderen Arzneimitteln muss bei Orphan Drugs ein sogenannter Zusatznutzen nicht nachgewiesen werden – er wird mit der Zulassung, die eine gewisse Wirksamkeit zur Bedingung hat, automatisch bescheinigt. Der Clou: »Bei einem vorhandenen Zusatznutzen kann der Hersteller den Preis des Medikaments deutlich höher ansetzen«, sagt Stefan Lange, stellvertretender



## DIE MILLIONEN-SPRITZE



**Anton\***, 4, wäre aufgrund eines Gendefekts beinahe gestorben. Heute liegt ein fast normales Leben vor ihm

»**Ohne Behandlung** wäre unser Sohn Anton wohl bereits tot. Er leidet an Spinaler Muskelatrophie, kurz SMA. Das ist ein Gendefekt, bei dem im Stoffwechsel ein bestimmtes Eiweiß verloren geht, das die Nervenzellen des Rückenmarks benötigen, um die Muskeln zu steuern. Die Muskeln entwickeln sich nicht richtig, werden immer schwächer, bis schließlich die Atemmuskulatur versagt. Ohne Behandlung **sterben die meisten Kinder** in den ersten beiden Lebensjahren.

Unser Sohn war gerade einmal sechs Monate alt, als wir verschiedene Auffälligkeiten wie zitternde Finger bemerkten – es dauerte anderthalb Monate, bis die Diagnose gestellt wurde. Diese zog uns erst einmal den Boden unter den Füßen weg. Eines von 10.000 Kindern ist von SMA betroffen, **ausgerechnet unseren Sohn** hatte es erwischt! Anton bekam dreimal im Jahr eine Lumbalpunktion, hierbei wird ein Medikament über eine hohle Nadel ins Rückenmark eingeführt. Die Therapie zeigte Erfolg: Während er vorher nicht einmal versucht hatte zu krabbeln, konnte Anton sich bald auf dem Boden entlangrollen und allein sitzen.

Im März 2020 wurde eine neue Behandlung der SMA zugelassen, eine Gensatztherapie namens Onasemnogen-

Abepravovec, bekannt unter dem Handelsnamen Zolgensma. Über eine einzige Infusion soll der Bauplan für das dringend benötigte Eiweiß in den Körper gelangen. Das Medikament ist **eines der teuersten der Welt**: Fast zwei Millionen Euro kostet eine einmalige Behandlung!

Die meisten Krankenkassen übernehmen die Kosten vollständig, wofür wir sehr dankbar sind. So konnten wir abwägen, ob die Therapie auch etwas für unseren Sohn ist. Es gab vielversprechende Daten, aber die fußten auf der Behandlung weniger kleiner Patienten, und über Nebenwirkungen ließ sich kaum etwas sagen.

**Wir entschieden uns für die Therapie** – zum Glück: Seither entwickeln sich die Bewegungsfähigkeiten unseres Sohnes Stück für Stück weiter, und er kann inzwischen mit einer Gehhilfe erste Schritte machen. Sicher wird Anton immer in seiner Beweglichkeit eingeschränkt sein. Aber sein Gehirn ist normal entwickelt, **er ist ein liebes und glückliches Kind**, das jeden Tag unsere Herzen aufs Neue erobert. Vielleicht kann er – abgesehen von der eingeschränkten Beweglichkeit – sogar ein recht normales Leben führen. Das ist unsere zarte Hoffnung.«

\*Name geändert

Leiter des Instituts für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) in Köln. So lasse sich auch bei wenigen Patienten noch ein Gewinn erwirtschaften. Für die Arzneimittelforschung haben solche Anreize ganz offensichtlich den entscheidenden Unterschied gemacht. Über 40 Prozent der im Jahr 2020 in Deutschland neu eingeführten Arzneimittel wurden für die Behandlung seltener Erkrankungen zugelassen – einige davon sind eine erste ursächliche Therapie überhaupt. Laut dem Verband Forschender Arzneimittelhersteller befinden sich derzeit 2150 Medikamente gegen seltene Erkrankungen in der Entwicklung.

Bis hierhin ist das Problem der fehlenden Forschung an seltenen Krankheiten und die Lösung – das Setzen der Anreize – eine beeindruckende Erfolgsgeschichte.

Doch vor allem in jüngster Zeit scheint die Pharmaindustrie die Privilegien der Orphan Drugs über ein gesundes Maß hinaus auszureizen. 2020 etwa wurde eine Behandlung gegen die seltene Spinale Muskelatrophie zugelassen, das Pharmaunternehmen setzte die Therapiekosten auf fast zwei Millionen Euro fest. »Die Pharmaunternehmen nutzen ihre Preisgestaltungsfreiheit leider nicht selten schamlos aus«, sagt Wolf-Dieter Ludwig von der Arzneimittelkom-

mission der deutschen Ärzteschaft. Darauf deuten auch Daten des Arzneiverordnungsreports 2021 hin: Zwischen 2010 und 2020 machten Medikamente gegen seltene Erkrankungen nur 0,06 Prozent der Verordnungen aus – aber ihr Anteil am Umsatz lag bei mehr als elf Prozent.

Lange meint, dass auch die Gewinne bei den seltenen Erkrankungen

## Mehr als 2000 Mittel gegen seltene Krank- heiten sind in der Entwicklung

besonders groß sind: »Die geschätzte eine Milliarde Entwicklungskosten wird bei einigen Medikamenten für seltene Krankheiten deutlich unterschritten. Unter anderem deshalb, weil die klinischen Studien – einer der Hauptkostenfaktoren – wegen der geringen Patientenzahl häufig deutlich kleiner sind.« Angesichts der zunehmend teuren Therapien stellt sich laut Lange perspektivisch natürlich die Frage, wie lange das Gesundheitssystem die enormen Kosten noch schultern kann.

Neben den Kosten hat sich ein weiteres Problem bei den Orphan Drugs herauskristallisiert: Es werden immer wieder Medikamente zugelassen, bei denen die Studien nicht den üblichen Ansprüchen genügen. Das liegt natürlich zum Teil auch an den geringen Patientenzahlen. »Aber dann sollten die Pharmaunternehmen wenigstens nach der Zulassung die Wirksamkeit und Sicherheit weiter erforschen – und das tun sie häufig kaum«, sagt Wolf-Dieter Ludwig von der Arzneimittelkommission. Hier sollten sie mehr in die Pflicht genommen werden, sonst drohten Qualitätseinbußen bei den zugelassenen kostenintensiven Therapien. Ludwig: »Glücklicherweise bereiten die europäischen und auch die deutschen Gesetzgeber Nachbesserungen an bestehenden Gesetzen vor.«

Die Forschung an seltenen Erkrankungen zu regulieren verhält sich ein bisschen wie das Einstellen der richtigen Wassertemperatur in einer älteren Dusche: Es geht darum, genügend Anreize zu setzen, um etwas zu bewegen, aber nicht so viel zu versprechen, dass darunter das System zusammenbricht. Durch feine Anpassungen muss hier ein immer besseres Gleichgewicht gefunden werden. Mit etwas Optimismus lässt sich aber durchaus sagen: Man ist auf dem richtigen Weg. —

---

### IMPRESSUM

---

**Redaktionsleitung:** Andreas Lebert, Andrea Böhnke **Artdirektion:** Wiebke Hansen

**Chefin vom Dienst:** Iris Mainka **Autoren:** Andrea Böhnke, Christian Heinrich, Astrid Viciano

**Bildredaktion:** Andy Heller (frei) **Schlussredaktion:** Imke Kromer **Korrektur:** Thomas Worthmann (verantw.)

**Dokumentation:** Mirjam Zimmer (verantw.) **Herstellung:** Torsten Bastian (verantw.), Oliver Nagel

**Druck:** Frank Druck GmbH & Co. KG, 24211 Preetz **Anzeigenleitung:** Corinna Hohenleitner

**Anzeigenpreise:** Sonderpreisliste Nr. 1 vom 1.1.2021 **Verlag und Redaktion:** Zeitverlag Gerd Bucerius GmbH & Co. KG, Helmut-Schmidt-Haus, Buceriusstraße, Eingang Speersort 1, 20095 Hamburg, Telefon: 040/32 80-0,

Website: [www.zeit.de/doctor](http://www.zeit.de/doctor)