

NEUE ARZNEIMITTEL GEGEN VERNACHLÄSSIGTE ARMUTSASSOZIIERTE KRANKHEITEN



TAB-Fokus Nr. 11 zum Arbeitsbericht Nr. 170

Februar 2017

In Kürze

- › Einige Krankheiten treten vor allem in armen Ländern auf und führen dort zu erheblichen gesundheitlichen Einschränkungen. Neben unzureichender medizinischer Versorgung vor Ort wird dafür auch das Innovationssystem der Industrieländer verantwortlich gemacht.
- › Die Krankheiten gelten als vernachlässigt, weil die Industrie aufgrund der zahlungsschwachen Nachfrage kaum einen Anreiz hat, neue Arzneimittel und Medizinprodukte zu entwickeln. Seit einigen Jahren werden national und international Maßnahmen diskutiert und teilweise auch realisiert, um Forschung und Entwicklung (FuE) zu solchen Krankheiten gezielt zu stärken und neue Arzneimittel auch für arme Länder bezahlbar zu machen.
- › Deutschland als ein weltweit führender medizinischer FuE-Standort bleibt beim Engagement gegen vernachlässigte Krankheiten hinter etlichen anderen Industrieländern zurück. Der TAB-Bericht gibt einen Überblick über vielfältige Maßnahmen zur Stärkung von Forschung und Produktentwicklung gegen vernachlässigte Krankheiten und zeigt Handlungsoptionen für ein stärkeres politisches Engagement in Deutschland auf.

Worum es geht

Vernachlässigte armutsassoziierte Krankheiten sind Krankheiten, die vor allem in armen Ländern auftreten und zu denen die Industrie kaum neue Produkte entwickelt. Mehrheitlich werden die sogenannten »großen Drei« (Tuberkulose, Malaria, HIV/Aids), etliche der von der WHO definierten 17 vernachlässigten tropischen Krankheiten sowie einige Atemwegs- und Durchfallerkrankungen als vernachlässigt und armutsassoziiert aufgefasst – durchweg Infektionskrankheiten.

Bevor neue Arzneimittel in den Industrieländern eingesetzt werden dürfen, müssen ihre Sicherheit, Wirksamkeit und Qualität belegt werden. Ein strukturiertes Verfahren mit mehreren FuE-Etappen soll dies gewährleisten. Den für eine Marktzulassung relevanten Kern bilden genehmigungspflichtige klinische Studien, zuerst an gesunden Freiwilligen und dann an schritt-

weise größeren Patientenkollektiven. In den Industrieländern sind die Hersteller der neuen Arzneimittel für diese aufwendigen FuE-Aktivitäten verantwortlich und tragen die Kosten. Im Gegenzug werden ihnen Schutzrechte am geistigen Eigentum gewährt, die ihnen eine befristete alleinige gewerbliche Nutzung ihrer Entwicklungen garantieren und ihnen über Monoppreise positive FuE-Investmentreturns in Aussicht stellen. In den Industrieländern konnten so erhebliche FuE-Aktivitäten kommerzialisiert und anfallende Kosten über spätere Produktpreise refinanziert werden. Öffentliche Haushalte werden nicht durch die FuE-Kosten, sondern durch die hohen Monoppreise belastet. Völkerrechtliche Verträge sichern die weltweite Durchsetzbarkeit dieser Schutzrechte zunehmend ab. Diese Strukturen führen u. a. dazu, dass einerseits neue Arzneimittel über etliche Jahre sehr teuer sind – für arme Länder meist unbezahlbar (Zugangsproblem). Andererseits findet zu Krankheiten, die fast nur in armen Ländern auftreten, keine ausreichende Produktentwicklung statt (FuE-Problem). Bei diesen gibt es eine zusätzliche Herausforderung: Die aufwendigen klinischen Studien zum Wirksamkeitsnachweis neuer Arzneimittel müssen an zumeist großen Patientenkollektiven und in den betroffenen Regionen durchgeführt werden. Dazu sind sowohl klinische Zentren für die Studiendurchführung als auch Governancestrukturen zur Genehmigung und Überwachung der FuE-Aktivitäten erforderlich, die in armen Ländern erst noch auf- oder zumindest ausgebaut werden müssen.

Da die etablierten kommerzialisierten FuE-Strukturen des pharmakologischen Innovationssystems bei geringer und/oder zahlungsschwacher Nachfrage zumindest nicht vollständig funktionieren, bedarf es zusätzlicher Maßnahmen, um die notwendige Forschung und Produktentwicklung anzureizen.

Auftraggeber

Ausschuss für Bildung, Forschung und
Technikfolgenabschätzung
+49 30 227-32861
bildungundforschung@bundestag.de

Themeninitiative

Ausschuss für wirtschaftliche Zusammenarbeit
und Entwicklung

Elemente zur FuE-Stärkung

Die evidenzbasierte Medizin der Industrieländer erfordert vielfältige FuE-Aktivitäten, die unterschiedlichen Etappen zugeordnet werden (von der Grundlagenforschung über klinische Studien bis zur Überwachung unter Anwendungsbedingungen), jedoch oft zeitlich und inhaltlich miteinander verschränkt sind (Fallbeispiel in der Grafik unten). Maßnahmen zur Verbesserung der Situation setzen an unterschiedlichen Etappen dieses Prozesses an.

Öffentliche Forschungsförderung: In den Industrieländern gibt es eine gewisse Aufgabenteilung zwischen öffentlicher Hand (Finanzierung der Grundlagenforschung) und Industrie (Finanzierung der Produktentwicklung). In den vergangenen Jahren haben etliche Länder ihre Forschungsförderung ausgebaut und damit vor allem die Grundlagenforschung an ihren öffentlichen Einrichtungen gestärkt. Die verfügbaren Mittel einzelner Länder reichen regelmäßig nicht aus, um die Durchführung zulassungsrelevanter klinischer Studien in Ländern des globalen Südens und eine effiziente Produktentwicklung abzusichern, sodass auch andere Finanzierungsquellen (von Pharmaunternehmen bis philanthropischen Stiftungen) eine wichtige Rolle spielen.

Open Innovation: Einige Akteure beginnen, einzelne FuE-Instrumente zu öffnen und Produkte gegen PRND (poverty-related and neglected diseases) gemeinsam zu entwickeln. Zu Open Innovation gehören: Open Access (Zugang zu Publikationen), Open Data (Zugang zu FuE-Daten) sowie die Öffnung von FuE-Infrastrukturen (Substanzbibliotheken, Laborausstattungen) oder Ansätze, geistige Eigentumsrechte dafür gemeinsam zu nutzen (Patentpools). Jenseits von Open Access zeichnet sich derzeit kein völlig freier Zugang ab. Es werden lediglich Nutzungsmöglichkeiten für bestimmte FuE-Akteure und/oder definierte PRND-Aktivitäten eröffnet.

European and Developing Countries Clinical Trials Partnership (EDCTP): Die Europäische Kommission und etliche europäische Länder finanzieren paritätisch EDCTP, um Kapazitäten und Know-how für die Organisation und Durch-

führung klinischer Studien in Subsahara-Afrika auszubauen. EDCTP setzt dort an, wo die öffentliche FuE-Förderung an ihre Grenzen stößt, sowohl administrativ und organisatorisch als auch finanziell. Vor allem Aktivitäten für klinische Studien zum Wirksamkeitsnachweis werden gemeinschaftlich finanziert. Bisher nehmen nahezu ausschließlich öffentliche Einrichtungen teil. Seit der Etablierung 2003 wurden viele Ausbildungsmaßnahmen durchgeführt, Forschungsergebnisse publiziert und einige Produktkandidaten weiterentwickelt, jedoch konnte bisher noch keiner zur Zulassung gebracht werden.

Product Development Partnerships (PDP): Seit der Jahrtausendwende sind etliche Non-Profit-Organisationen mit eigener Finanzierung (Spenden, öffentliche Förderung) entstanden, die bei versagenden Marktmechanismen FuE-Aufgaben zumindest teilweise übernehmen. Bei PRND-Aktivitäten sind sie zu einem Bindeglied zwischen öffentlichen Einrichtungen und der Industrie geworden. In Kooperation mit der Industrie konnten erste Anwendungserweiterungen bereits verfügbarer Wirkstoffe zugelassen werden. Seit der Finanzkrise sinken jedoch die verfügbaren Mittel. Derzeit ist offen, ob PDP die notwendigen Ressourcen aufbringen können, um völlig neue Wirksubstanzen effizient zur Zulassung

Grundlagen/Prälinik → klinische Studien (Phase I, II, III)

zu bringen, denn in späteren klinischen FuE-Phasen steigen der Aufwand und damit der Finanzbedarf.

Zusätzliche FuE-Finanzierungsquellen: Seit einigen Jahren wird diskutiert, ob und wie sich neue und/oder zusätzliche Finanzierungsquellen für PRND-FuE erschließen lassen. 2006 starteten einige Industrie- und Schwellenländer eine Initiative, um über Solidaritätszuschläge auf Flugtickets zusätzliche Mittel zu generieren. Eine Realisierung in globalem Maßstab gibt es allerdings weder dazu noch zu anderweitigen Abgaben (z. B. auf Finanztransaktionen). Auch Ideen, zusätzliche FuE-Finanzierungsfonds einzurichten, fanden bisher kaum in relevantem Maße Zuspruch. Eine globale Forschungskon-

FuE-Aufwand am Beispiel des Malariaimpfstoffkandidaten Mosquirix®



vention bis hin zu verpflichtenden PRND-FuE-Beiträgen werden von Expertengremien der WHO zwar seit Jahren gefordert, von den Mitgliedsländern in den vorgeschlagenen Formen bisher aber kaum befürwortet.

FuE-Anreize für die Wirtschaft: Einige Industrieländer versuchen, privatwirtschaftliches Engagement gezielt anzureizen, u. a. mit Steuergutschriften für spezifische FuE, Erfolgshonorierung mittels Gutscheinen für beschleunigte Zulassungsverfahren oder die massive Stärkung und Absicherung der Produktnachfrage. Es gibt unterschiedliche Einschätzungen, inwiefern solche Maßnahmen wirtschaftliches Engagement zur PRND-Produktentwicklung in nennenswertem Maße anregen können.

Unterstützung bei der Produktzulassung: Europäische und US-amerikanische Arzneimittelzulassungsbehörden haben Verfahren etabliert, um bei neuen Medikamenten gegen PRND Nutzen und Risiken schnell und kostengünstig zu bewerten. WHO-Verfahren helfen bei der Qualitätsbewertung von Arzneimitteln und Medizinprodukten gegen PRND (zentrale Produktprequalifikation). Es sind wichtige Elemente, um neue Produkte über globale Initiativen zum sozialverträglichen Produktzugang bereitstellen zu können.

ab, vor allem die ärmsten Länder massiv zu unterstützen, Länder mit größerer Wirtschaftskraft jedoch zunehmend an den Kosten zu beteiligen. Andererseits sollen durch die Bündelung und Stärkung der Nachfrage Marktmechanismen gestärkt werden.

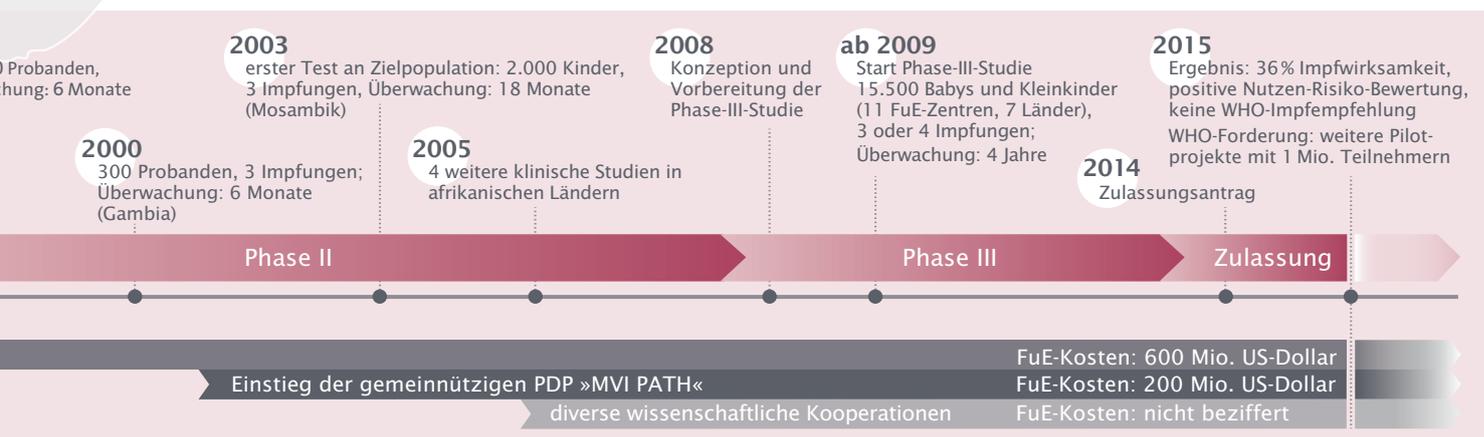
Situation in Deutschland

Der FuE-Standort Deutschland verfügt über hochkompetente öffentliche und privatwirtschaftliche Einrichtungen, die in der Summe nahezu das gesamte Krankheits- und Produktspektrum abdecken. In der Tuberkuloseforschung sowie der Entwicklung von Diagnoseverfahren und insektizidhaltigen Produkten zur Malariaprävention liegen besondere Stärken. Auch wenn sich das Engagement der öffentlichen Hand zur Förderung der PRND-FuE nur schwer im Detail abbilden lässt, zeigen internationale Erhebungen, dass Deutschland bei dieser Förderung hinter einigen anderen Industrieländern zurückliegt. Weder bei Open-Innovation-Aktivitäten noch bei der Wirtschaftsförderung zur Stärkung der PRND-FuE gehören deutsche Akteure zu den Vorreitern.

Die Bundesregierung sieht die Verantwortung für die Stärkung der PRND-FuE vor allem beim Forschungsministerium (BMBF). Dieses hat 2011 erstmals ein PRND-Förderkonzept aufgelegt, das wichtige Maßnahmen bündelt (öffentliche Forschungsförderung, EDCTP-Teilnahme, PDP-Förderung) und entsprechend der ressorteigenen Afrika-Strategie seit 2014 auch Forschungsk Kooperationen in Subsahara-Afrika finanziell unterstützt. Damit einher gingen Umstrukturierungen (Vernetzung bestehender öffentlicher Forschungseinrichtungen im Deutschen Zentrum für Infektionsforschung) und Verschiebungen von Ressortzuständigkeiten (die PDP-Förderung lag vorher beim Bundesministerium für wirtschaftliche Zusammenarbeit und Entwicklung [BMZ]), wodurch zunächst wieder Ressourcen gebunden wurden und Erfahrungen gesammelt werden mussten. Auch mit der finanziellen Aufstockung einiger Fördermaßnahmen seit 2014 bleibt Deutschland hinter anderen Industrieländern zurück. Es scheint nahezu ausgeschlossen, dass mit den vorgesehenen Beträgen die Produktentwicklung zügig vorangetrieben werden kann.



Sozialverträglicher Produktzugang: Einige bi- und multilaterale Initiativen zielen darauf ab, Arzneimittel und Medizinprodukte vor allem in den am wenigsten entwickelten Ländern möglichst umfangreich und günstig bereitzustellen. Sie erstrecken sich bisher nur auf Teilbereiche des globalen Marktes. Die Gavi Vaccine Alliance bündelt die Impfstoffnachfrage von ca. 50 Entwicklungsländern und subventioniert die Produkte bis hin zur kostenlosen Substanzbereitstellung in den 20 ärmsten Ländern. Der Globale Fonds zur Bekämpfung von Aids, Tuberkulose und Malaria (GFATM) unterstützt ca. 100 Länder beim Zugang zu Arzneimitteln und Medizinprodukten, jedoch ausschließlich zur Bekämpfung der »großen Drei«. Diese Initiativen zielen einerseits darauf



Handlungsfelder

Das BMBF-Förderkonzept ist ein wichtiger Schritt, um die FuE-seitige Vernachlässigung armutsassoziierter Krankheiten zu verringern. Es kann dazu beitragen, Produkte zur Bekämpfung dieser Krankheiten zu entwickeln, zuzulassen und bereitzustellen. Die Schlagkraft des Förderkonzepts kann erhöht werden, wenn weitere **forschungspolitische Elemente** hinzukommen und diese **mit entwicklungs-, gesundheits- und wirtschaftspolitischen Aktivitäten verzahnt** werden.

Dafür sollten die etablierten Forschungsinfrastrukturen stärker für PRND-Aktivitäten geöffnet – Stichwort **Open Innovation** – und genutzt werden (z. B. PRND-spezifische Verfahrens-, Zugangs- und Nutzungsbereiche sowie Ansprechpartner), aber auch der **Dokumentation nationalen Engagements** bei PRND-FuE zukünftig ein größerer Stellenwert beigemessen werden.

Ein erheblicher Teil der notwendigen FuE-Aktivitäten kann nur in den jeweils krankheitsendemischen Ländern durchgeführt werden. Deshalb müssen die dafür erforderlichen klinischen Zentren und Kontrollinstanzen dort ausgebaut werden. Da diese Kliniken neben den Forschungs- auch medizinische Versorgungsaufgaben haben, sollten **Maßnahmen der Forschungsförderung und der Entwicklungszusammenarbeit miteinander verzahnt** werden. Bisher überbrücken einige Zulassungsbehörden der Industrieländer und die WHO lückenhafte Governancestrukturen insbesondere in Subsahara-Afrika und helfen bei der Studiengenehmigung und übernehmen vor allem **Aufgaben der Nutzen- und Qualitätsbewertung** im Rahmen der Produktzulassung. Parallel zur organisatorischen und finanziellen Absicherung dieser Überbrückung sollten die notwendigen Strukturen im globalen Süden ausgebaut werden, um die diesbezügliche Abhängigkeit von den Industrieländern zu senken. Dafür gilt es, **wissenschaftliche Kooperation, technische Entwicklungszusammenarbeit und internationale gesundheitspolitische Bemühungen miteinander zu verknüpfen**.

Einige multilaterale Initiativen unterstützen einen **sozialverträglichen Zugang zu qualitätsgeprüften Arzneimitteln und Medizinprodukten** vor allem für arme Länder in einzelnen Bereichen des globalen Marktes. Die gesundheitsbe-

TAB-Arbeitsbericht Nr. 170

Neue Arzneimittel gegen vernachlässigte armutsassoziierte Krankheiten

Katrin Gerlinger



Projektinformation

www.tab-beim-bundestag.de/de/untersuchungen/u10300.html

Projektleitung und Kontakt

Dr. Katrin Gerlinger
+49 30 28491-108
gerlinger@tab-beim-bundestag.de

zogenen Effekte dieser Initiativen könnten vergrößert werden, wenn es auf internationaler Ebene gelänge, die derzeit höchst fragmentierte Abdeckung auszubauen.

Da im etablierten Innovationssystem die Produktentwicklung meist in private Strukturen überführt und dort bis zur Zulassung gebracht wird, versuchen einige Industrieländer bei schwachen Marktmechanismen, privatwirtschaftliches Engagement mit zusätzlichen **wirtschaftspolitischen Maßnahmen** anzureizen (Steuergutschriften für FuE-Maßnahmen, Belohnung der Produktentwicklung, FuE-Fonds). Vor dem Hintergrund der im internationalen Vergleich nach wie vor zurückhaltenden Förderung öffentlicher und gemeinnütziger PRND-FuE in Deutschland sowie den derzeit eher geringen Chancen, sich international auf angemessene zusätzliche Finanzierungsformen zu verständigen, sollte zumindest eine Debatte zur gezielten Forcierung privatwirtschaftlichen PRND-Engagements angestoßen werden. Auch sollte geprüft werden, inwiefern etablierte Maßnahmen zur Unterstützung privatwirtschaftlichen Engagements (z. B. **Exportinitiative Gesundheitswirtschaft, KMU-innovativ**) auch armutsassoziierte Krankheiten gezielt in den Blick nehmen.

Unterschiedliche ressortspezifische Maßnahmen zur Stärkung von Forschung, Produktentwicklung und -bereitstellung sowie die medizinischen Versorgung bei armutsassozierten Krankheiten sollten zu einer **Gesamtstrategie der Bundesregierung zusammengeführt** und ausgebaut werden. **Regelmäßige Fortschrittsberichte** sollten vereinbart werden.

Das Büro für Technikfolgen-Abschätzung beim Deutschen Bundestag (TAB) ist eine selbstständige wissenschaftliche Einrichtung, die den Deutschen Bundestag und seine Ausschüsse in Fragen des wissenschaftlich-technischen Wandels berät. Das TAB wird seit 1990 vom Institut für Technikfolgenabschätzung und Systemanalyse (ITAS) des Karlsruher Instituts für Technologie (KIT) betrieben. Hierbei kooperiert es seit September 2013 mit dem Helmholtz-Zentrum für Umweltforschung GmbH – UFZ, dem IZT – Institut für Zukunftsstudien und Technologiebewertung gGmbH sowie der VDI/VDE Innovation + Technik GmbH. Der Ausschuss für Bildung, Forschung und Technikfolgenabschätzung entscheidet über das Arbeitsprogramm des TAB, das sich auch aus Themeninitiativen anderer Fachausschüsse ergibt. Die ständige »Berichterstattergruppe für TA«, besteht aus je einem Mitglied der Fraktionen: Dr. Philipp Lengsfeld (CDU/CSU), René Röspel (SPD), Ralph Lenkert (Die Linke), Harald Ebner (Bündnis 90/Die Grünen) und der Ausschussvorsitzenden, Patricia Lips (CDU/CSU).