

25. Januar 2007

Workshop der Paul-Martini-Stiftung

Seite 1/4

Arzneimitteltherapie seltener Krankheiten – Herausforderungen und Chancen

Rückfragen an:

Dr. Rolf Hömke
Pressereferent
Telefon 030 20604-204
Telefax 030 20604-209
rolf.hoemke@paul-
martini-stiftung.de

Berlin, 25.01.06 (PMS). **„30 Millionen Europäer verbindet ein gemeinsames Schicksal: Sie leiden an einer seltenen Krankheit. Bisher bedeutete das meist schlechte Chancen, an einen Arzt zu gelangen, der die Krankheit erkennt, und schlechtere noch für ein Medikament, das hilft. Doch sind hier die Dinge erfreulich in Bewegung gekommen.“** So führte Professor Peter C. Scriba von der Ludwig-Maximilian-Universität München in den heute in Berlin stattfindenden Workshop ‚Arzneimitteltherapie seltener Krankheiten – Herausforderungen und Chancen‘ ein. **„Chancen sehe ich nicht nur für die Patienten, sondern auch für die Profilierung der klinischen Forschung einzelner Kliniken und für Biotech- und Pharmaunternehmen, die gewillt sind, sich in Nischen zu etablieren“,** so Scriba weiter. **Zu dem Workshop hat die Paul-Martini-Stiftung, Berlin, Wissenschaftler und andere Experten aus Kliniken, Forschungseinrichtungen, Industrie, Ministerien, Behörden und der Patientenselbsthilfe eingeladen.**

Etwa 6.000 Krankheiten werden zu den seltenen Erkrankungen gezählt, die bei weniger als einem von 2.000 Menschen vorkommen. Nachdem lange Zeit nur wenig Interesse der akademischen und industriellen Forschung an diesen Krankheiten bestand, ist dieses in den letzten Jahren erheblich gewachsen: Gleich neun Orphan Drugs, wie Medikamente gegen seltene Krankheiten heißen, wurden 2006 zugelassen, auch 2007 gab es schon wieder eine Zulassung. Mittlerweile dient jedes dritte Medikament, das eine Zulassung erhält, der Behandlung einer seltenen Krankheit. Manche davon haben einen neuen Wirkstoff, andere sind schon eingeführte Medikamente, die dann erfolgreich auch gegen seltene Krankheiten erprobt und zugelassen wurden.

Hausvogteiplatz 13
10117 Berlin
www.paul-martini-
stiftung.de

Pressemitteilung

Das ist im Wesentlichen der europäischen „Verordnung über Arzneimittel für seltene Leiden“ aus dem Jahr 2000 zu verdanken, die Unternehmen Beratung, den Erlass von Zulassungsgebühren und bessere Marktkonditionen gewährt, wenn sie ein Orphan Drug entwickeln. Bis Ende 2006 wurde 422 konkreten Entwicklungsprojekten auf Basis der Verordnung der Orphan-Drug-Status erteilt; diese sind zum großen Teil bereits in der Phase der klinischen Entwicklung. In den USA und Japan gelten ähnliche Regelungen. Der Workshop wird unter anderem darauf eingehen, welche Unterstützung die deutschen Zulassungsstellen Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM) sowie Paul-Ehrlich-Institut (PEI) in diesem Bereich bieten können.

Seite 2/4

Bundesweite Koordination von Studien

Mit verbesserten Ertragsmöglichkeiten für Orphan Drugs ist ein Hindernis für die Behandlung von mehr Patienten mit seltenen Krankheiten überwunden. Doch bleiben andere: So ist es aufgrund der geringen Fallzahlen nicht möglich, ähnlich viele Patienten wie bei häufigeren Krankheiten in Studien einzubeziehen. Der Workshop wird sich deshalb mit speziellen Anpassungen im Studiendesign befassen, die es ermöglichen, auch mit wenigen Patienten zu hinreichend aussagekräftigen Ergebnissen zu kommen. Auch werden die Besonderheiten bei Studien mit Minderjährigen diskutiert werden, denn viele seltene Krankheiten – wie Erbkrankheiten oder bestimmte Formen von Leukämie – betreffen insbesondere Kinder. So muss die Belastung der minderjährigen Studienteilnehmer so gering wie möglich gehalten werden. Das heißt für die Praxis beispielsweise, dass bei Untersuchungen während der Studie soweit als möglich auf Blutabnahmen verzichtet werden muss. Der Workshop wird auch ausleuchten, wie die verbesserten Rahmenbedingungen durch die neue europäische Verordnung für Kinderarzneimittel für mehr Aktivitäten zugunsten von Orphan Drugs für Kinder genutzt werden können.

Ferner soll diskutiert werden, welche Rolle die vom Bundesministerium für Bildung und Forschung geförderten Kompetenznetze dabei übernehmen können, um die Entwicklung von Diagnostik- und Therapieansätzen bundes- oder europaweit zu koordinieren. Hier liefern die Kompetenznetze zu Leukämien (Blutkrebs) und malignen Lymphomen (Lymphknotenkrebs) gute Beispiele.

Auch Patientenorganisationen begreifen es zunehmend als ihre Aufgabe, nicht nur den aktuellen Wissensstand zur jeweiligen Krankheit für Betroffene und Angehörige aufzubereiten, sondern auch Forschung und Therapieentwicklung gezielt zu unterstützen.

Erfolge bei erblichen Stoffwechselkrankheiten und Lungenhochdruck

Ein Krankheitsgebiet, auf dem in den letzten Jahren erhebliche Verbesserungen erzielt werden konnten, sind die lysosomalen Speicherkrankheiten. Den Patienten fehlen aufgrund von erbten Gendefekten wichtige Enzyme zum Abbau verschiedener körpereigener Substanzen, was zu einer Aufhäufung dieser Substanzen im Organismus und in der Folge zur Schädigung verschiedener Organe führt. Für einige dieser Krankheiten, darunter *Morbus Gaucher*, *Morbus Pompe*, *Morbus Fabry* und das Hunter-Syndrom, konnten Enzymersatztherapien entwickelt werden: Eine gentechnisch hergestellte Variante des jeweils fehlenden Enzyms wird dann regelmäßig gespritzt oder mit Infusionen verabreicht. Der Workshop wird darauf eingehen, was diese Therapien leisten und wie dieser Ansatz auf weitere Krankheiten übertragen werden kann. In Deutschland sind auf diesem Gebiet unter anderem das St. Franziskus Hospital Köln und das Universitätsklinikum Mainz engagiert.

Seite 3/4

Noch mehr Aufmerksamkeit hat in den letzten Jahren eine andere seltene Krankheit erfahren: der chronische Lungenhochdruck (pulmonale arterielle Hypertonie, PAH). Gleich vier Präparate wurden binnen vier Jahren zu seiner Behandlung zugelassen. Als wichtiges Zentrum für diese neuen Therapien hat sich das Universitätsklinikum Gießen entwickelt. Hier wurde beispielsweise aufgrund von Laborbefunden und mittels klinischer Studien nachgewiesen, dass sich Sildenafil - ein zunächst gegen Erektionsstörungen entwickeltes Mittel - auch zur PAH-Therapie eignet. Der Hersteller griff den Ansatz auf und brachte Sildenafil nach entsprechenden klinischen Studien auch für PAH zur Zulassung. Das zeigt, wie sich akademische Grundlagen- und klinische Forschung mit industrieller Arzneimittelentwicklung verbinden können.

Insgesamt ist das, was sich bei Orphan Drugs in den letzten Jahren getan hat, ein Positivbeispiel dafür, wie die Politik durch das Setzen adäquater Rahmenbedingungen die Forschung in Europa stärken und die industrielle Entwicklungsarbeit in gesellschaftlich gewünschten und von vielen Patienten ersehnten Bereichen nachhaltig aktivieren kann.

Die Paul-Martini-Stiftung

Die gemeinnützige Stiftung mit Sitz in Berlin fördert die Arzneimittelforschung sowie die Forschung über Arzneimitteltherapie und intensiviert den wissenschaftlichen Dialog zu Fragen der Arzneimittelforschung und -entwicklung zwischen medizinischen Wissenschaftlern in Universitäten, Krankenhäusern, der forschenden pharmazeutischen Industrie und anderen Forschungseinrichtungen sowie Behörden. Träger der Stiftung ist der Verband Forschender Arzneimittelhersteller e.V. (VFA), Berlin, mit seinen derzeit 42 Mitgliedsunternehmen.

Die Stiftung ist benannt nach dem herausragenden Bonner Wissenschaftler und Arzt Professor Paul Martini (1889 - 1964), in Würdigung

Pressemitteilung



seiner besonderen Verdienste um die Förderung und Weiterentwicklung der klinisch-therapeutischen Forschung, die er mit seiner 1932 veröffentlichten „Methodenlehre der therapeutischen Untersuchung“ über Jahrzehnte wesentlich geprägt hat. Nach ihm ist auch der jährlich von der Stiftung verliehene Preis für herausragende klinische Forschung benannt.

Die Pressemitteilung kann unter www.paul-martini-stiftung.de/de/veranstaltungen/2007.html abgerufen werden.