

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 oder Orphan Diseases 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, also Medikamente gegen Orphan Diseases, wurden 2006 zugelassen, und im Januar 2007 schon ein weiteres. Mittlerweile

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

# Pressemitteilung

ist jedes dritte Medikament, das eine Zulassung erhält, für eine seltene Krankheit indiziert. Darunter sind nicht nur solche mit neuem Wirkstoff, sondern vermehrt auch schon eingeführte Medikamente, deren Indikation erfolgreich auf eine seltene Krankheit erweitert werden konnte.

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. Die USA und Japan haben ähnliche Regelungen. Der Workshop wird unter anderem darauf eingehen, welche Unterstützung die deutschen Zulassungsstellen Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM) und 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 pädiatrischen Studien diskutiert werden, denn viele seltene Krankheiten – wie Erbkrankheiten oder bestimmte Leukämieformen – betreffen insbesondere Kinder. So muss die Belastung der minderjährigen Studienteilnehmer so gering wie möglich gehalten werden. Das bedeutet beispielsweise, dass für Untersuchungen wo immer möglich Alternativen zu Blutabnahmen gefunden werden müssen. Der Workshop wird auch ausleuchten, wie die verbesserten Rahmenbedingungen durch die neue europäische Verordnung für Kinderarzneimittel für mehr Aktivitäten für pädiatrische Orphan Drugs 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 und malignen Lymphomen 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 Indikationsgebiet, auf dem in den letzten Jahren erhebliche Verbesserungen erzielt werden konnten, sind die lysosomalen Speicherkrankheiten. Die genetisch bedingten Enzym-Defizienzen in den Abbauwegen für Mucopolysaccharide und Glykolipide führen bei den Patienten zur Akkumulation von Metaboliten und verschiedenen Organschädigungen. 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 regelmäßig injiziert oder infundiert. 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 u.a. das St. Franziskus Hospital Köln und das Universitätsklinikum Mainz engagiert.

Seite 3/4

Noch mehr Aufmerksamkeit hat eine andere Orphan Disease erfahren: die pulmonale arterielle Hypertonie (PAH). Gleich vier Präparate wurden binnen vier Jahren zu ihrer 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 - das zunächst gegen erektile Dysfunktion entwickelte worden war - 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.

# Pressemitteilung



## **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 43 Mitgliedsunternehmen.

**Seite 4/4**

Die Stiftung ist benannt nach dem herausragenden Bonner Wissenschaftler und Arzt Professor Paul Martini (1889 - 1964), in Würdigung 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](http://www.paul-martini-stiftung.de/de/veranstaltungen/2007.html)**  
**abgerufen werden.**