



Lagebericht über die Implementierung der Verordnung des Europäischen Parlaments und des Europäischen Rates für Arzneimittel für seltene Krankheiten („Orphan Drugs“)

- Die von Patienten mit seltenen Krankheiten seit vielen Jahren ungeduldig erwartete Gesetzgebung¹ für Arzneimittel für seltene Krankheiten („Orphan Drugs“) trat im April 2000 in der Europäischen Union in Kraft.
- „Orphan Drugs“ (wörtlich: „Waisenkinder“ unter den Arzneimitteln) dienen zur Behandlung von Krankheiten, die so selten auftreten, dass Sponsoren nicht bereit sind, sie unter normalen Marktbedingungen zu entwickeln. Diese Arzneimittel sind zur Behandlung von Patienten mit lebensbedrohlichen oder sehr schweren Krankheiten bestimmt, für die es heute entweder gar keine Behandlung oder keine zufriedenstellenden Behandlungsmöglichkeiten gibt. Eine große Zahl dieser Krankheiten tritt bei Kindern und Neugeborenen auf.
- Die EMEA (Europäische Agentur für die Beurteilung von Arzneimitteln) hat eine wichtige neue Rolle, nämlich die Entwicklung von Arzneimitteln für seltene Krankheiten zu stimulieren. Ein Ausschuss und ein neues Verfahren zur Designation von „Orphan Drugs“ wurden eingeführt. Sponsoren erhalten Anreize, um Arzneimittel für seltene Krankheiten innerhalb kürzest möglicher Zeit auf den Markt zu bringen und für die Patienten bereitzustellen. Zu diesen Anreizen gehört die Möglichkeit, die EMEA um Unterstützung bei der Erstellung von Prüfplänen (wissenschaftliche Beratung) und Gebührenermäßigungen für alle Arten zentralisierter Aktivitäten zu ersuchen, wozu auch Gebühren für die Unterstützung bei der Erstellung von Prüfplänen, für den Zulassungsantrag, für Änderungsanzeigen sowie Jahresgebühren zählen.
- Der innerhalb der EMEA im April 2000 eingesetzte Ausschuss für Arzneimittel für seltene Krankheiten (COMP) ist der erste institutionelle Ausschuss der Europäischen Union, in dem Patientenorganisationen als volle Mitglieder vertreten sind, und einer von ihnen stellvertretender Vorsitzender ist.
- Sponsoren konnten erst seit Mai 2000 bei der EMEA Anträge zur Designation von „Orphan Medicinal Products“ stellen, und die bisherige Reaktion ist beachtlich:

<i>Meldungen über beabsichtigte Einreichungen</i>	<i>Eingereichte Anträge</i>	<i>Zurückgezogene Anträge</i>	<i>Befürwortende Gutachten des COMP</i>	<i>Ablehnende Gutachten des COMP</i>	<i>Von der Kommission gewährte Ausweisungen</i>
47	169	43	101	1 ²	98

Nähere Angaben zu den ausgewiesenen Arzneimitteln wurden in das Gemeinschaftsregister von „Orphan Medicinal Products“ aufgenommen, welches auf der „Website“ der Europäischen Kommission publiziert ist (<http://pharmacos.eudra.org/F2/register/index.htm>).

¹ Verordnung (EG) Nr. 141/2000 vom 16. Dezember 1999 und Verordnung (EG) Nr. 847/2000 der Kommission vom 27. April 2000

² Von den fünf bisher angenommenen negativen Gutachten, ist in Widerspruch momentan unter Bearbeitung. Zwei Anträge wurden zurückgenommen, einer mündete in eine endgültige negative Entscheidung und einer in ein positives Gutachten nach Widerspruch.

- Unter den bei der EMEA bereits eingereichten oder erwarteten Anträgen für „Orphan Drugs“ befinden sich Arzneimittel für:
 - genetische Krankheiten, bei denen ein Enzymmangel Stoffwechselstörungen hervorruft und schließlich zu einem frühen Tod führt,
 - Krankheiten, bei denen eine Transplantation heute die einzige Möglichkeit darstellt,
 - Patienten mit unbeeinflussbaren Darmstörungen und schweren Lungenfunktionsstörungen (Mukoviszidose),
 - seltene Krebskrankheiten wie Hirntumore, insbesondere bei Kindern und Jugendlichen. Krebserkrankungen, für die es keine therapeutische Möglichkeit gibt, wenn alle üblichen verfügbaren Therapien erfolglos blieben, wie bei bestimmten Blutkrebskrankheiten (Leukämien),
 - neurologische Störungen, die zu Lähmung und allmählich zum Tod führen,
 - Produkte, die zu erfolgreicher Knochenmarktransplantation beitragen.
- Eine Reihe dieser Arzneimittel wird mittels Biotechnologie oder Gentherapie zumeist von kleinen und mittelständischen europäischen Unternehmen entwickelt.
- In 2001 sind die ersten Orphan Drugs auf den Markt gekommen, nachdem sie die Genehmigung für das Inverkehrbringen von der Europäischen Kommission bekommen haben. Bis heute wurden 4 Genehmigungen für das Inverkehrbringen für Orphan Drugs erteilt.

Name des Produkts	Datum der Genehmigung für das Inverkehrbringen	Seltene Krankheit	Geschätzte Anzahl ³ der EU Bürger, die von der Krankheit betroffen sind
Fabrazyme	August 2001	Morbus Fabry	500-1000
Replagal	August 2001	Morbus Fabry	500-1000
Glivec	November 2001	Chronische myeloische Leukämie	33 000
Trisenox	März 2002	Akute promyelocytische Leukämie	30 000

- Weitere 15 Anträge auf Genehmigung für das Inverkehrbringen und 1 zusätzliche Änderungsanzeige für ein zugelassenes Orphan Drug sind bei der EMEA eingereicht und sind momentan unter Evaluierung.
- Insgesamt 1 297 500 € von Mitteln der Gemeinschaft wurden in 2001 zur Finanzierung von Gebührenermäßigungen benutzt.
- Für 2002 wurden 3 300 000 € von der Union für Gebührenermäßigungen für „Orphan Drugs“ bereitgestellt. Zusätzlich wurden von dem Grundzuschuss der Agentur 1 900 000 € zur Deckung der Sitzungs- und Personalkosten beiseite gelegt. Die hohe Nummer der Ausweisungen, welche im Jahr 2001 gewährt wurden, wird in eine Anzahl von Zulassungsanträgen in 2002 resultieren, die höher als erwartet sein wird. Bis heute wurden schon 50% der für dieses Jahr gewährten Mittel für Gebührenermäßigungen an eingereichte und erwartete Zulassungsanträge, an Anträge auf Unterstützung bei der Erstellung des Prüfplanes und für die Aufrechterhaltung von bestehenden Genehmigungen für das Inverkehrbringen für Orphan Drugs verteilt.

³ Die Anzahl der von der Krankheit betroffenen Patienten wird geschätzt für die Zwecke der Ausweisung. Diese Schätzung basiert auf der verfügbaren Information und Berechnungen, die vom Antragsteller zum Zeitpunkt der Antragstellung präsentiert werden, und können daher von der wahren Patientenzahl, die von dieser Krankheit betroffen sind, abweichen.

- Für 2003 beantragte die EMEA einen speziellen Zuschuss von 6 200 000 € zur Finanzierung von Gebührenermäßigungen für eine geschätzte Anzahl von 25 Zulassungsanträgen und 30 Ersuchen um Unterstützung bei der Erstellung des Prüfplanes. Zusätzlich wurden 2 300 000 € mit dem Grundzuschuss der Agentur zur Deckung der Sitzungs- und Personalkosten für Ausweisungsverfahren und Unterstützung bei der Erstellung des Prüfplanes beantragt

I. ÜBERBLICK ÜBER DEN BUDGETBEDARF DER EMEA FÜR 2002-2003

Jahr	2002	2003
Anzahl designierter „Orphan Drugs“	85	90
Anzahl der Zulassungsanträge für „Orphan Drugs“ & Ersuchen zur Unterstützung bei der Erstellung eines Prüfplanes	38	50
Anzahl der Änderungen + Jahresgebühr für die Erhaltung der Zulassung	12	44
Spezieller Zuschuss für die teilweise Befreiung von Gebühren	€ 3 300 000	€ 6 200 000 (Schätzung)
Beitrag aus dem Grundzuschuss der EU für Sitzungs- und Personalkosten der EMEA	€ 1 900 000	€ 2 300 000 (Schätzung)

--ENDE--