Market Access

# Markt für Kinderarzneien verbessern

Klinische Studien zur Zulassung von Medikamenten für Kinder sind extrem schwer durchzuführen. Nun hat erstmals ein Präparat mit einem generischen Wirkstoff die Höchstnote im Rahmen der frühen Nutzenbewertung bestätigt bekommen. Wie wirkt sich das Qualitätssiegel auf den Market Access aus? Darüber sprach ‚Healthcare Marketing' mit Dunja Pfeiffer, Leitung Market Access bei Pierre Fabre Pharma. Kostendruck und mangelndes Vertrauen stellen für Hersteller große Hindernisse dar.

**Dunja Pfeiffer, Pierre Fabre Pharma**

**HEALTHCARE MARKETING: Frau Pfeiffer, in der Medizin gibt es noch zu wenig kindgerechte Behandlungen. Der sogenannte Off-Label-Use ist bei Kindern stark verbreitet. Woran liegt das?**
**DUNJA PFEIFFER:** Viele Medikamente, die derzeit auf dem Markt sind, haben keine Zulassung für Kinder. Das liegt zunächst einmal daran, dass Arzneimittel auf Basis von klinischen Studien zugelassen sind und diese in der Regel nur an Erwachsenen durchgeführt wurden. Das ist nachvollziehbar, denn klinische Studien an Kindern sind rechtlich und ethisch schwierig: Kinder sind sogenannte nicht-einwilligungsfähige Probanden, die Einwilligung zur Teilnahme an einer klinischen Studie muss bei ihnen durch die Eltern erfolgen. Und natürlich möchte man verständlicherweise Kinder nur ungern dem Risiko eines Arzneimittels in der Prüfungsphase aussetzen. Dies sind die wesentlichen Gründe, warum nur wenige Arzneimitteldaten für Kinder und dementsprechend wenige Zulassungen für Kinder vorliegen.

**HEALTHCARE MARKETING: Gibt es auf Seiten der Zulassungsbehörden Maßnahmen, dieses Problem zu lösen?**
**PFEIFFER:** Die europäische Arzneimittelzulassungsbehörde EMA versucht schon seit mehreren Jahren mit dem Pediatric Investigation Plan (PIP), den Hersteller bei Antrag auf Zulassung eines neuen Arzneimittels vorlegen müssen, das Problem anzugehen. Es handelt sich dabei grob gesagt um ein Prüfkonzept, für das Arzneimitteldaten für Kinder vorgelegt werden müssen. Bei alten Arzneimitteln, mit nicht mehr patentgeschützten Substanzen und bestehender Zulassung, wird aber in der Regel keine Forschung für Zulassungserweiterungen für Kinder durchgeführt, weil es sich für den Hersteller aufgrund des generischen Preisniveaus nicht mehr rechnet. So entstand auf europäischer Ebene die Idee, einen Anreiz für die Weiterentwicklung bekannter Substanzen zu setzen und eine neue Form der Zulassung zu entwickeln, die sogenannte Paediatric Use Marketing Authorisation (PUMA). Sie kann für Wirkstoffe erteilt werden, die bereits für Erwachsene zugelassen sind, und für die eine weitere Zulassung ausschließlich zur Behandlung von Kindern beantragt wird. Wichtig für eine PUMA ist auch, dass eine für Kinder geeignete Darreichungsform und Zusammensetzung vorliegt.

**HEALTHCARE MARKETING: Wenn es schon ein Sonderverfahren für Kinderarzneimittel gibt, wo liegt das Problem?**
**PFEIFFER:** Die PUMA-Zulassung wurde 2007 implementiert, doch seither sind bedauerlicherweise kaum Zulassungen dieser Art eingereicht worden. Es gibt nur zwei Arzneimittel, die auf Basis dieser Zulassungsart seither auf den Markt gebracht worden sind. Im Jahr 2011 ein Präparat zur Anfallsunterbrechung bei Kindern mit Epilepsie, und letztes Jahr unser Arzneimittel Hemangiol zur systemischen Therapie von behandlungbedürftigen Gefäßtumoren bei Säuglingen. Dies könnte daran liegen, dass die Vorteile der PUMA- Zulassung immer noch nicht die von den Herstellern gesehenen Risiken ausgleichen, zum Beispiel im Hinblick auf die patent- und vermarktungsrechtlich komplizierte Situation oder die schwierige Preisbildung für PUMA-Arzneimittel.

**HEALTHCARE MARKETING: Können Sie das bitte noch näher erläutern!**
**PFEIFFER:** Der Wirkstoff an sich ist nicht mehr patengeschützt, sondern der einzige Schutz für das PUMA-Arzneimittel ist der sogenannte Unterlagenschutz für das fertige Präparat. Das von der EMA gewährte Schutzzertifikat für ein PUMA-Arzneimittel gilt zwar zehn Jahre. Es gibt aber die Bedenken, dass eventuell ein konkurrierender Hersteller ein weiteres PUMA bei gleicher Indikation mit geänderter Zusammensetzung auf den Markt bringen könnte. Dagegen nützt auch kein Unterlagenschutz. Derzeit ist das nur ein virtuelles Problem, weil sowieso

nur wenige Hersteller Wirkstoffe für Kinder weiterentwickeln. Es ist aber womöglich einer der Gründe, die bisher Hersteller von der Entwicklung von Kinderarzneimitteln abgehalten haben. Wesentlich problematischer in der Praxis sind aber die nationalen Preis- und Erstattungsentscheidungen der einzelnen europäischen Länder. Ein Kinderarzneimittel erhält zwar diese spezielle Zulassung auf europäischer Ebene. Doch kein europäisches Preis- und Erstattungssystem ist wirklich auf diese Art von Arzneimitteln vorbereitet. Zudem hat jedes europäische Land eigene Anforderungen, dadurch werden zusätzliche Kosten und Verzögerungen generiert. In der Regel sind die Systeme entweder auf komplett neue Wirkstoffe, auf generische Wirkstoffe oder auf Orphan Drugs eingestellt. Ein Kinderarzneimittel mit seiner speziellen Zulassungssituation passt da nicht ins Raster.

**HEALTHCARE MARKETING: Wo liegen die Gründe dafür?**

**PFEIFFER:** Das liegt an der speziellen Studiensituation für Kinderarzneimittel. Normalerweise werden für eine Arzneimittelzulassung mehrere kontrollierte Zulassungsstudien benötigt. Diese liegen für ein Kinderarzneimittel nicht vor, und die Zulassungsbehörde verlangen sie auch gar nicht. Warum? Man möchte die Zahl der Kinder, die in Studien aufgenommen werden, so gering wie möglich halten. Das führt dann dazu, dass ein Hersteller – wie in unserem Fall – in Abstimmung mit EMA und FDA nur eine kontrollierte Studie durchführen muss und darf. In Verfahren wie der frühen Nutzenbewertung macht das aber Probleme, weil hier eben in der Regel Evidenz aus mehreren kontrollierten Studien gefordert wird.

**„Damit fehlt der Status als neue Met… obwohl das zugelassene Arzneimittel… 2014 zur Verfügung steht…**

Rahmen eines bestehenden DRG abgerechnet, sind die Mehrkosten aber erst einmal nicht darin. Dafür sieht das System aber ein Verfahren vor, die sogenannte NUB-Anfrage. Klinik… können vereinfacht gesagt beim Institut für das Entgeltsy… im Krankenhaus, dem InEK, einen Antrag auf eine zusä… neue Behandlungsmethode stellen. Wird dieser Antra… bewertet, dann können die Kliniken mit den Kra… eine Extra-Vergütung für diese neue Methode o… neue Arzneimittel verhandeln. Das nimmt al… druck von den Kliniken. Es ist ein relativ gi… zum Beispiel im Bereich Onkologie, in d… neuer hochpreisiger Präparate für die K… blem darstellt. Wir haben für unser … den Kliniken empfohlen, ebenfalls … len. Das haben in Deutschland üb… tiv großer Anteil der Zentren, d… der ist die NUB-Anfrage aber…

zu bekomm… alten Wir… Heman… Wirk… tur… …

**HEALTHCARE MARKETING: Welche Unterschiede i… ket Access gibt es noch zwischen Kinderarzneien und… ten für Erwachsene?**

**PFEIFFER:** Der größte Unterschied besteht da… neuer, sondern ein bewährter Wirkstoff bewer… den oben dargelegten Problemen. Im praktisc… wenn Sie darunter die Verordnungssituati… die Konkurrenz der günstigeren Rezept… Medikamente, die im Off-Label-Use ve…

**HEALTHCARE MARKETING: … lichem Druck. Welche Rolle sp… neimitteln?**

**PFEIFFER:** Unser Arznei… Markt. In der Regel gibt… lauf: Die Kinder werd… tiziert und die Beha… verordnung des A… niedergelassener… über ein nur … Verordnung… her für si… lem sin… entst… vo… …

Den gesamten Artikel können Sie in unserer aktuellen ‚Healthcare Marketing'-Ausgabe ab Seite 16 lesen. Wenn sie unser Heft noch nicht beziehen, abonnieren sie jetzt hier!