

Die pharmazeutische Industrie steckt seit Jahren in einer Innovationskrise. Seit Beginn der Neunzigerjahre



hat sich die Zahl der Medikamentenzulassungen etwa halbiert. An den ausgedehnten Zulassungsverfahren liegt das nicht, im Gegenteil: Medikamente kommen heute schneller auf den Markt.

Die Arzneimittelhersteller haben ihre Strategie verändert. Sie setzen weniger auf neue Medikamente gegen die grossen Volkskrankheiten. Viel lukrativer ist es offenbar geworden, Medikamente

gegen seltenere Krankheiten zu entwickeln. Mit anderen Worten: Die Blockbuster verschwinden aus dem Blickfeld, an ihre Stelle treten neue und teure Medikamente für kleinere Patientengruppen. Hierfür wurde der Begriff Nichebuster geprägt.

zefälle. Eine italienische Untersuchung aus dem Jahr 2008 ergab, dass für die Mehrzahl der seinerzeit 44 in der EU zugelassenen Orphan Drugs (heute sind es etwa 70) die Standards der Nutzenbewertung nicht erfüllt waren, was bei Medikamenten gegen seltene Erkrankungen von den Zulassungsbehörden aber akzeptiert wird. In der Regel wurden in den Studien gar keine patientenrelevanten Endpunkte definiert, sondern Surrogatparameter. In 19 Fällen lag keine randomisierte kontrollierte Studie (RCT) vor. In 22 von 25 Fällen, in denen RCT vorlagen, fand nur ein Vergleich mit Placebo statt, obwohl es eine therapeutische Alternative gab, gegen die das neue Medikament hätte getestet werden können.

Manche Kritiker befürchten, dass die Zahl kostentreibender Orphan Drugs (mit womöglich eher geringem Nutzen) weiter zunehmen wird. Dazu könnte das moderne Konzept der sogenannten «individualisierten Medizin» beitragen. Diese basiert unter anderem da-

Nichebuster statt Blockbuster

Allerdings ist der Nutzen der Nischenpräparate für den Patienten bis jetzt durchaus überschaubar. Im vergangenen Jahr zog beispielsweise die pharmaunabhängige Revue «Prescrire» insgesamt ein ernüchterndes Fazit: Nur 17 von 104 in Frankreich neu zugelassenen oder mit neuer Indikation versehenen «innovativen» Medikamenten bieten einen «gewissen Vorteil» oder sind «womöglich hilfreich», bei 19 schätzten die Gutachter den Schaden grösser ein als den Nutzen.

Insbesondere in der Onkologie drängen immer mehr und immer schneller neue Orphan Drugs auf den Markt. So war etwa für Sorafenib, Sunitinib oder Tlemsirrolimus zum Zeitpunkt der Zulassung (2006) ein Zusatznutzen in der Behandlung des metastasierten Nierenzellkarzinoms nicht gesichert. Das sind keine Ein-

tauf, anhand von Biomarkern zu erkennen, bei welchem Patienten eine Behandlung mit einem bestimmten Medikament Erfolg versprechend ist und bei welchem wahrscheinlich nicht. Ein Beispiel hierfür ist Gefitinib, das für Patienten mit nichtkleinzelligem Lungenkrebs und Mutationen im Gen für den Wachstumsfaktor EGFR vorgesehen ist. Eine bessere Stratifizierung von Patienten ist eigentlich ein Fortschritt. Lassen sich aber erst einmal häufigere (Krebs-)Krankheiten in Untergruppen differenzieren, wäre zuletzt alles selten, und die Industrie könnte für neue Medikamente den Orphan-Drug-Status reklamieren.

Uwe Beise