

## Innovative Therapien von seltenen Erkrankungen bringen einen hohen Mehrwert

Neue Therapien zur Behandlung seltener Erkrankungen schaffen einen deutlichen Mehrwert für unsere Gesellschaft - zusammen mit Hoffnung und Lebensqualität für die Patienten.

**Dieser Mehrwert lässt sich nicht in üblichen pharmaökonomischen Modellen darstellen.**

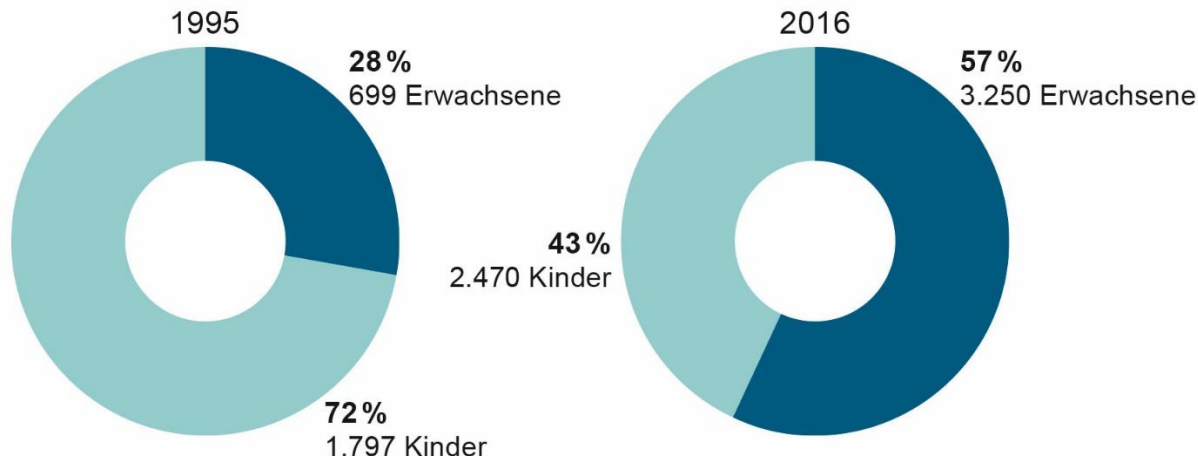
### 1. Wert und Kosten dieser Therapien müssen ganzheitlich betrachtet werden:

Sozioökonomische und volkswirtschaftliche Auswirkungen sowie die Lebensqualität der Betroffenen müssen miteinbezogen werden. Essentiell ist für Patienten der rasche Zugang zu den Therapien.

Am **Beispiel der Cystischen Fibrose** erkennt man eindrucksvoll, welchen Mehrwert die Entwicklung spezifischer Therapien hat: Die mittlere Überlebensdauer von Patienten mit Cystischer Fibrose ist von unter 30 Jahren mittlerweile auf deutlich über 40 Jahre gestiegen.

Die steigende Lebenserwartung zeigt sich besonders in der Altersentwicklung dieser Patienten. Der Anteil an Patienten mit einem Alter von über 18 Jahren hat sich z.B. in Deutschland in den letzten 20 Jahren verdoppelt.

#### Altersentwicklung von Patienten mit Cystischer Fibrose 1995-2016



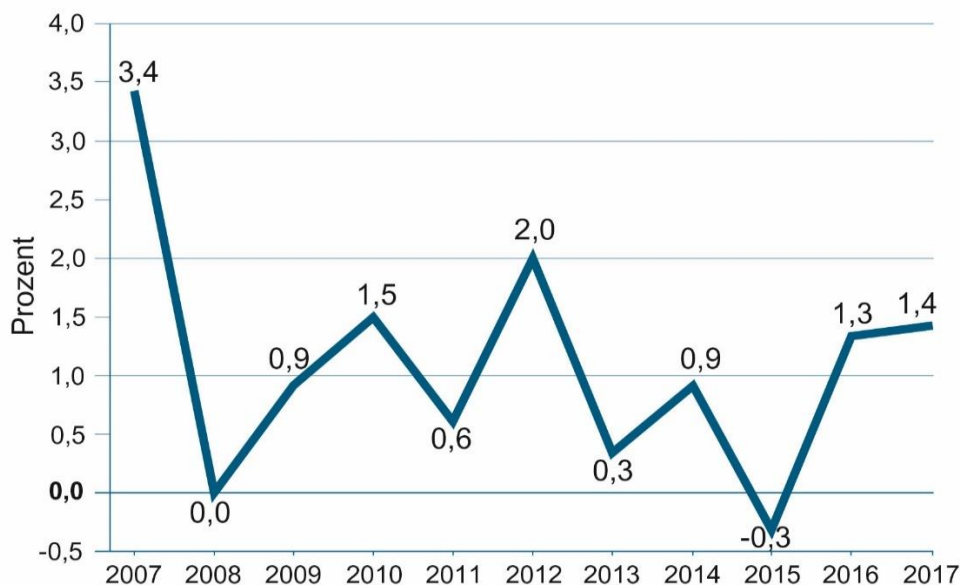
Quelle: Deutsches Mukoviszidose-Register

### 2. Die Entwicklung von Orphan Drugs (Arzneimittel zur Behandlung seltener Erkrankungen) ist besonders herausfordernd und mit einem hohen unternehmerischen Risiko verbunden. Es gibt aufgrund der geringen Anzahl von Betroffenen nur limitierte Daten. Daher braucht es neue Ansätze in der klinischen Entwicklung, Investitionsanreize und Pioniergeist.

- Siehe auch [Pharmig Factsheet Orphan Drugs](#)

- 3. Das jährliche Wachstum der Gesundheitsausgaben\* pro Kopf liegt in Österreich stabil bei rund 1%. Ebenso stabil ist in den letzten Jahren der Anteil der laufenden Gesundheitsausgaben am BIP bei rund 10%. Damit sind die Ausgaben bestens kontrolliert.**

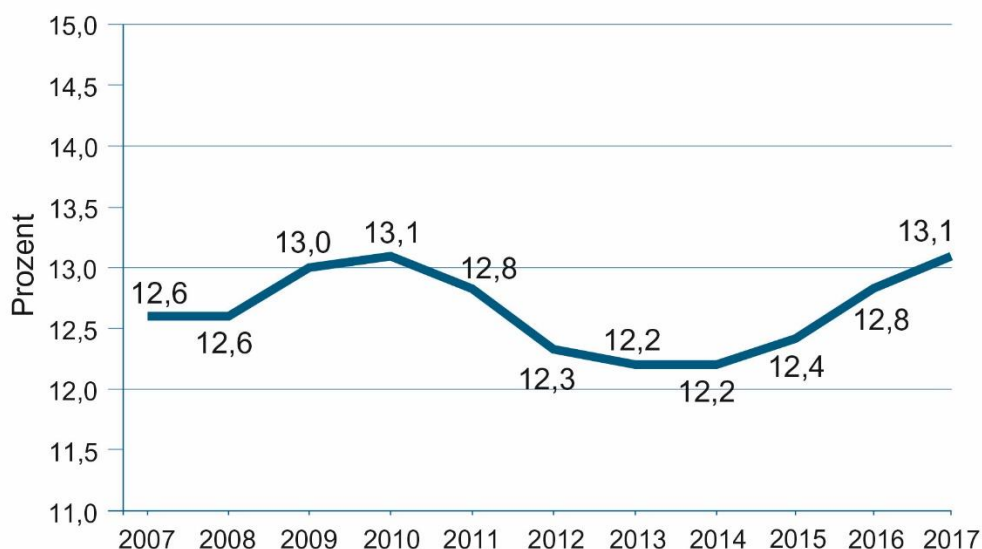
Jährliches Wachstum der Gesundheitsausgaben pro Kopf



Quelle: OECD health statistics 2018

- 4. Seit Jahren sind die Gesamtausgaben für Arzneimittel in Österreich stabil und liegen bei 12-13% der Gesundheitsausgaben\*.**

Anteil der Arzneimittelausgaben an den Gesundheitsausgaben

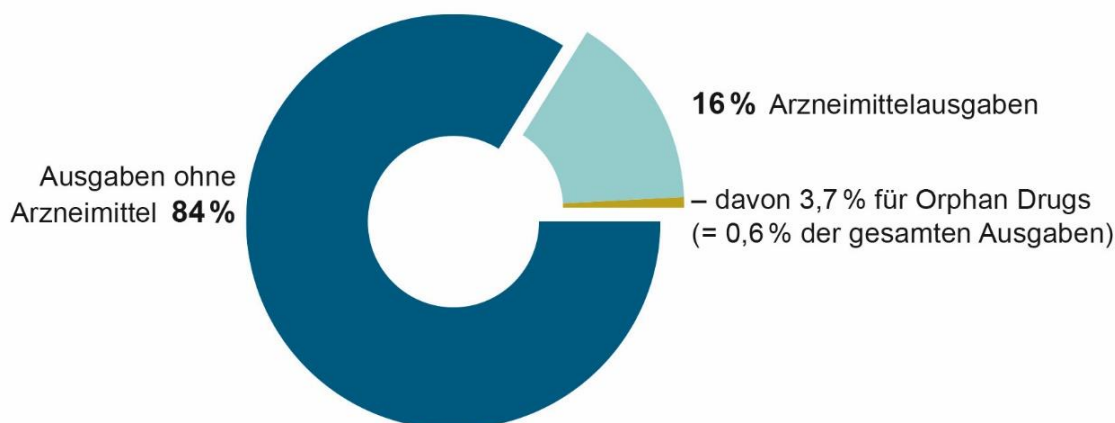


Quelle: berechnet durch Institut für pharmaökonomische Forschung (IPF) unter Verwendung folgender Quellen: IQVIA, Statistik Austria, Hauptverband

\*Beinhaltet öffentliche (Bund, Länder und Sozialversicherungen) und private Gesundheitsausgaben (private Versicherungen, Haushalte, Organisationen und betriebsärztliche Leistungen) sowie Investitionen im Gesundheitssektor

**5. Orphan Drugs machen nur einen geringen Anteil der gesamten Arzneimittel-ausgaben aus.** Mangels österreichischer Daten sind hier Daten aus Deutschland dargestellt. Für 2017 konnte gezeigt werden, dass Orphan Drugs lediglich 3,7% der Arzneimittelausgaben der gesetzlichen Krankenkassen ausmachen. Diese Ausgaben beinhalten auch den Krankenhausbereich.

Anteil der Orphan Drug Ausgaben der gesetzlichen Krankenkassen in Deutschland 2017



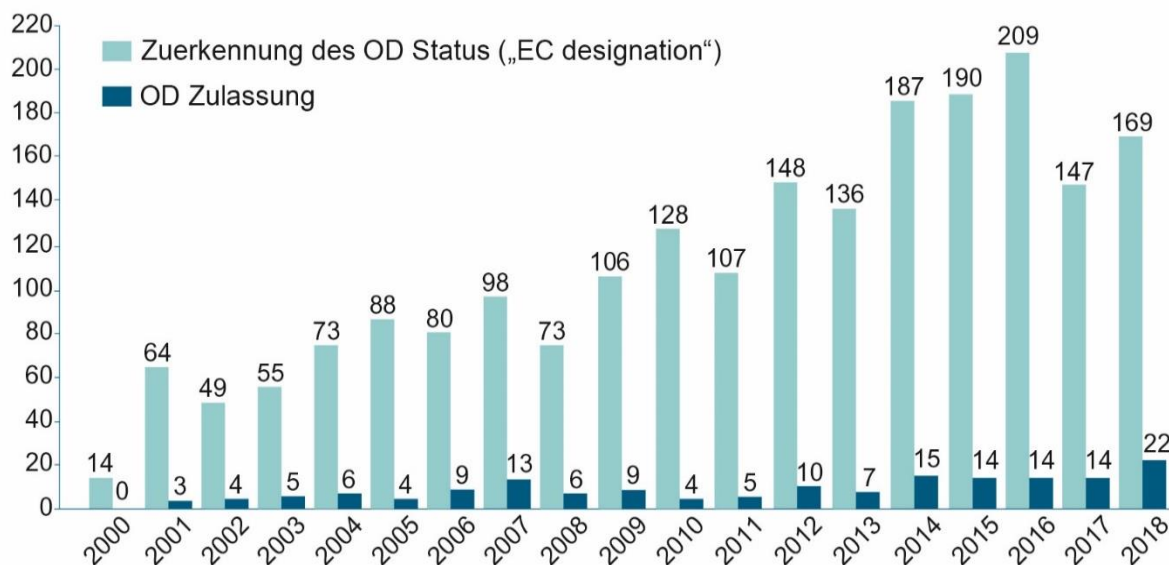
Quelle: vfa. Die forschenden Pharma-Unternehmen Deutschland

**6. Für 95% der seltenen Erkrankungen gibt es noch keine spezifische Therapie.** 80% der seltenen Erkrankungen sind angeboren, über 50% betreffen Kinder.

In den letzten 5 Jahren wurden in Europa jährlich rund 300 Anträge zur Zuerkennung des Orphan Drug Status gestellt. Knapp 200 Anträge erhielten pro Jahr diese Zuerkennung. Gleichzeitig kamen pro Jahr durchschnittlich nur 16 Orphan Drugs auf den Markt.

Es braucht daher weitere Anreize für die Erforschung und Entwicklung von Orphan Drugs.

Zuerkennung des Status versus der Zulassung von Orphan Drugs (OD) 2000 – 2018



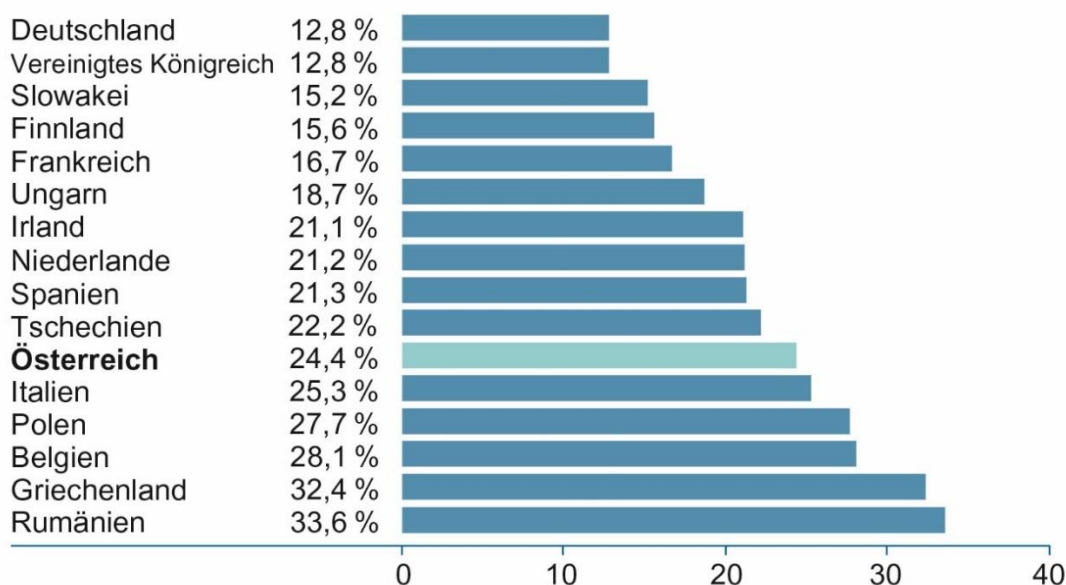
Quelle: EMA, COMP Meeting reports

- 7. Preisregularien sorgen für massive Preissenkungen nach Patentablauf.** Mit dem ersten Generikum wird ein Abschlag von 30% vom Preis des Originalproduktes, mit dem 3. Generikum ein Gesamtabschlag von 65,15% verlangt.

Diese Preissenkungen ermöglichen Investitionen in innovative Therapien, um weiterhin ein modernes und nachhaltiges Gesundheitssystem auch für Patienten mit seltenen Erkrankungen sicherzustellen.

- 8. Alle Patienten in Österreich haben das Recht auf gleichen Zugang zur bestmöglichen Therapie** entsprechend dem aktuellsten Stand der Wissenschaft. Das ist eine der Kernaufgaben einer solidarischen Gesellschaft. Ergebnisse einer EURORDIS Umfrage zeigen, dass es aus Sicht der Patienten in Österreich noch Aufholbedarf im Vergleich zu anderen europäischen Ländern gibt.

Anteil an Patienten mit seltenen Erkrankungen, die eine unzureichende Erstattung als Therapiehindernis beurteilen



Quelle: EURORDIS Access Campaign, country results, 2016

- 9. Wir alle wollen ein innovatives, solidarisches und nachhaltiges Gesundheitssystem,** das allen Patienten dieselben Therapie Chancen einräumt und die Lebensqualität der Patienten und Angehörigen berücksichtigt.

**Im Sinne der Patienten fordern wir einen konstruktiven Dialog aller Systempartner.**