



# Zugang zu onkologischen Medikamenten – ein europäischer Vergleich

---

Devora Yordanova, Frank Wild

## **Impressum**

WIP – Wissenschaftliches Institut der PKV  
Gustav-Heinemann-Ufer 74c  
50968 Köln  
Telefon: (0221) 9987 – 1652  
E-Mail: [wip@wip-pkv.de](mailto:wip@wip-pkv.de)  
Internet: [www.wip-pkv.de](http://www.wip-pkv.de)

Februar 2020

ISBN 978-3-9821682-0-3

# Inhalt

<b>1</b>	<b>Einleitung</b> .....	<b>3</b>
<b>2</b>	<b>Neue Therapien in der Onkologie</b> .....	<b>4</b>
<b>3</b>	<b>HTA-Prozesse</b> .....	<b>5</b>
<b>4</b>	<b>Zugang zu Innovationen</b> .....	<b>6</b>
	4.1 Zugang zu den neuesten zugelassenen Arzneimitteln .....	6
	4.1.1 Onkologische Medikamente .....	7
	4.1.2 Orphan Drugs.....	10
<b>5</b>	<b>Fazit</b> .....	<b>12</b>
	Literaturverzeichnis .....	13
	WIP-Veröffentlichungen seit 2012 .....	15



# 1 Einleitung

Die Lebenserwartung in den Industrieländern hat sich seit Ende des 19. Jahrhunderts mehr als verdoppelt. Maßgeblich hierfür sind ein gestiegener Wohlstand und die damit verbundenen Verbesserungen in den Arbeitsbedingungen, der Hygiene, der Ernährung und der Wohnsituation. Einen wesentlichen Beitrag zu einem längeren Leben liefert zudem der medizinisch-technische Fortschritt. Es gelang, eine Reihe von früher oft zum Tode führenden Krankheiten (z. B. Infektionskrankheiten) zurückzudrängen, zu heilen oder sogar zu verhindern. Infolge der höheren Lebenserwartung steigt jedoch auch die Wahrscheinlichkeit einer Krebserkrankung. Laut Zahlen des Robert-Koch-Instituts (RKI) hat sich die Zahl der Neuerkrankungen seit den 70er Jahren fast verdoppelt. In Deutschland erkranken derzeit jährlich rund 500.000 Menschen neu an Krebs, rund 230.000 Menschen sterben daran. In ca. 50 % der Fälle handelt es sich um Darmkrebs, Lungenkrebs, Hautkrebs, Brustkrebs oder Prostatakrebs.<sup>1</sup> Die Krebserkrankungen sind mittlerweile hierzulande nach den Herz-Kreislauf-Erkrankungen die Todesursache Nummer 2. Bisher sind 250 – manche Krebsforscher sprechen auch von 300 – Krebsarten und Subtypen bekannt.

Während Krebs früher in der Regel ein Todesurteil war, sind heutzutage viele Krebsarten gut therapierbar. Trotz der steigenden Prävalenz von Krebs geht die Zahl der Todesfälle zurück. Nach einer aktuellen Studie sank die krebisbedingte Mortalität altersbereinigt von 2012 bis 2018 bei Männern um 10 % und bei Frauen um 5 %. Besonders auffällige Rückgänge waren bei Darmkrebs, Eierstockkrebs, Gebärmutterkrebs und Blasenkrebs zu erkennen. Gegen den Trend nahm die Sterblichkeit bei Bauchspeicheldrüsenkrebs und Lungenkrebs bei Frauen zu.<sup>2</sup> Der Rückgang der Sterblichkeit ist auf neue Behandlungsmöglichkeiten und auf eine verbesserte Früherkennung, die einen möglichst frühzeitigen Therapiebeginn ermöglicht, zurückzuführen.

Eine wichtige Voraussetzung zur Teilhabe am medizinisch-technischen Fortschritt ist ein niedrigschwelliger Zugang zu neuen Behandlungsmöglichkeiten und die zeitnahe Aufnahme der neuen Präparate in die Kostenerstattung, um sie den Patienten verfügbar zu machen. Im internationalen Vergleich wird deutlich, dass sich diesbezüglich die Gesundheitssysteme – selbst bei ähnlichen Wohlstandsniveaus – deutlich unterscheiden. Aufgrund unterschiedlicher Regulierungssysteme stehen beispielsweise nicht alle von der Europäischen Zulassungsbehörde (EMA) zugelassenen Medikamente in jedem EU-Land für Therapien zur Verfügung. Zudem unterscheidet sich der Zeitraum zwischen Zulassung und Markteintritt erheblich. Die vorliegende Studie verdeutlicht, dass die Bevölkerung in Deutschland im internationalen Vergleich einen ausgezeichneten Zugang zu neuen Therapiemöglichkeiten in der Onkologie hat. Der Schwerpunkt der Analyse liegt dabei auf dem Bereich Arzneimittel.

---

1 Vgl. Zentrum für Krebsregisterdaten im Robert-Koch-Institut (2016).

2 Vgl. Malvezzi, M et al. (2018).

## 2 Neue Therapien in der Onkologie

Die medizinisch-technische Forschung zeigt in kaum einem anderen Bereich in den letzten Jahrzehnten eine so dynamische Entwicklung wie in der Onkologie. Die Standardtherapie – Operation, Chemotherapie, Bestrahlung – gilt zwar weiterhin als Basis, sie wird aber zunehmend ergänzt und teilweise ersetzt durch neue vielversprechende Therapien. Veränderungen gibt es selbst bei den klassischen Therapien: Operationen werden mittels computergestützter Hightech-Navigation durchgeführt, oft ohne große Schnitte mit Schlüsselloch-Technik; Bestrahlungen erfolgen in unterschiedlicher Intensität und zielgenau auf den Tumor, wobei das umliegende Gewebe geschont wird; Chemo-Wirkstoffe werden auf Basis der Tumorbiologie ausgewählt und kombiniert - die zielgerichtete Therapie verbessert die Prognose; die kombinierte Radio-Chemo-Therapie lässt Tumore schrumpfen und ermöglicht weniger radikale Operationen.

Gegenstand der heutigen Onkotherapie können zum Beispiel auch die Immunonkologie, die Gentherapie und die Präzisionsonkologie sein.

Die Immunonkologie verfolgt den Ansatz, dass ein bösartiger Tumor durch das körpereigene Immunsystem bekämpft werden kann.<sup>3</sup> Im Unterschied zur bisherigen Krebstherapie ist hier nicht die Tumorzelle das direkte Ziel einer Therapie, sondern das Immunsystem des Patienten. Das Medikament soll das Immunsystem so beeinflussen, dass es die Tumorzelle als fremd erkennt und sie beseitigt. Vor allem Tumore, die eine hohe Mutationsrate aufweisen und einem „immun-aktiven“ Tumortyp zugeordnet werden können, sind mit der Immuntherapie gut behandelbar. Eine sehr gute Ansprechrate hat hier beispielsweise das Melanom.

Als eine vielversprechende Weiterentwicklung der Immuntherapie zeigt sich die sogenannte Gentherapie mittels CAR-T-Zellen. Studien belegen, dass sie in den letzten Jahren sehr gute Therapieerfolge erzielt hat. CAR-T-Zellen lösen ein zentrales Problem der Krebstherapie: Für das Immunsystem unsichtbare Tumore können mit gentechnisch veränderten T-Zellen angegriffen werden.<sup>4</sup> Körpereigene Zellen des Immunsystems werden den Erkrankten entnommen und mit Erkennungsmerkmalen des Tumors versehen. Dann werden sie in den Körper als CAR-T-Zellen zurückgeführt. Diese Zellen können jetzt die Tumorzellen erkennen und zielgerichtet bekämpfen. Aufgrund der spektakulären Erfolge werden große Hoffnungen auf diese Behandlungsform gesetzt, die allerdings derzeit nur bei den sogenannten flüssigen Krebserkrankungen, wie z.B. Blutkrebs und Lymphdrüsenkrebs, eingesetzt wird.

Bei der Präzisionsonkologie kommt es nicht darauf an, wo der Tumor sitzt, sondern wie er entstanden ist.<sup>5</sup> Es geht hier um die sogenannte personalisierte Medizin, die sehr aufwändig ist, aber neue Therapiechancen gegen Krebs bietet. Voraussetzung dafür ist, dass der Tumor über bestimmte genetische Merkmale verfügt, auf die wiederum das Medikament ansprechen kann.

Einige Krebsarten gelten mittlerweile nahezu als chronische Erkrankung – beispielsweise lässt sich eine Form des Lymphdrüsenkrebses mit entsprechenden Medikamenten über lange Zeit stabil halten. Bei der Leukämie oder dem Hodenkarzinom gibt es ebenfalls sehr gute Behandlungsmöglichkeiten und bei vielen anderen Krebsformen, wie zum Beispiel beim Dickdarmkrebs oder schwarzen Hautkrebs, können häufig die Überlebenszeiten deutlich erhöht werden.

Selbstverständlich kann die Darstellung der neuen Therapiemöglichkeiten hier nur beispielhaft sein, um einen kurzen Überblick zur medizinischen Forschung in diesem Bereich zu geben.

---

3 Vgl. Biotech-Report (2017).

4 Vgl. Deutsches Ärzteblatt (2018).

5 Vgl. Mock, A et al. (2019).

### 3 HTA-Prozesse

Unter Health Technology Assessment (HTA) wird üblicherweise die systematische, transparente und evidenzbasierte Bewertung medizinischer Verfahren und Technologien verstanden, insbesondere eine Bewertung von Medikamenten im Hinblick auf deren Effekte auf die Gesundheitsversorgung. HTAs sind heute ein wichtiges Instrument der Politikberatung und Entscheidungsfindung. Eine HTA-Bewertung strebt immer den bestmöglichen Nutzen an, wobei die Interessen der Patientinnen und Patienten im Mittelpunkt stehen. Darüber hinaus berücksichtigt die Bewertung auch ökonomische, ethische, soziale sowie weitere Auswirkungen.

Viele Länder führen in der einen oder anderen Form eigene Bewertungen von Gesundheitsleistungen durch, insbesondere für Medikamente, bevor diese in die Liste der erstattungsfähigen Produkte aufgenommen bzw. vom Versicherungsschutz gedeckt werden. So wird für die Patienten ein breiter Zugang zu notwendigen Therapien gewährleistet. Gleichzeitig müssen die institutionellen Kostenträger den Zugang zu bestmöglichen Behandlungsmethoden innerhalb eines begrenzten Budgets verwalten. Aufgrund dieser Einschränkungen wollen Kostenträger sicherstellen, dass sie für neue Technologien zahlen, die echte Verbesserungen der Behandlungsergebnisse bieten. Genau hier kommt die HTA ins Spiel.

In Deutschland ist eine solche systematische Nutzenbewertung institutionell beim Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA) und beim Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) verankert.

In Europa gibt es verschiedene Stellen, die sowohl für pharmazeutische als auch für nicht-pharmazeutische Gesundheitstechnologiebewertung (HTA) verantwortlich sind. Struktur, Funktion, Aufgabenbereich und Ansätze dieser Einrichtungen variieren je nach den verschiedenen Gesundheitssystemen und politischen Strukturen, in denen sie agieren. Einige Beispiele für HTA-Gremien in Europa sind Haute Autorité de Santé (HAS) in Frankreich, Scottish Medicines Consortium (SMC) in Schottland und Tändvarvs Och Läkemedelsförmänsverket (TLV) in Schweden.<sup>6</sup>

Im Grundsatz haben alle HTA-Systeme einen vergleichbaren Ansatz. Als Bewertungsmaßstäbe herangezogen werden z. B. die Zielpopulation, die Krankheitsbelastung, die Wirksamkeit, mögliche Nebenwirkungen, die Wirtschaftlichkeit und der Innovationsgrad. Als Best-Practice-Ansatz gilt die Trennung der Beurteilung von der Bewertung und der Entscheidungsfindung. Im Ergebnis fällt die Entscheidung, ob und zu welchem Preis eine Erstattung im Gesundheitssystem (Sozialversicherungssystem oder steuerfinanzierten System) erfolgt. Die Erstattung kann sich dabei auch auf einzelne Patientengruppen beziehen. Die Europäische Kommission diskutiert derzeit eine Vereinheitlichung der HTA-Prozesse innerhalb der EU.<sup>7</sup>

---

<sup>6</sup> Kleinjen, S. et al. (2012).

<sup>7</sup> Da der HTA-Prozess eine grundlegende Rolle für den Patientenzugang zu neuen Medikamenten/Innovationen hat, will die Europäische Kommission die Nutzenbewertung vereinheitlichen. Sie schlägt vor, dass künftig HTA-Experten aus den Mitgliedsstaaten gemeinsam bewerten, ob ein Arzneimittel einen Zusatznutzen gegenüber der Standardtherapie aufweist oder nicht. Das Ergebnis soll für alle Mitgliedsstaaten bindend sein und diese sollten keine eigenen klinischen Bewertungen mehr vornehmen. Die Gesetzesinitiative wird damit begründet, dass der Marktzugang für innovative Medikamente und Medizinprodukte durch die unterschiedlichen nationalen HTA-Verfahren und -Methoden behindert wird. Als Folge verzögert sich der Patientenzugang zu Innovationen.

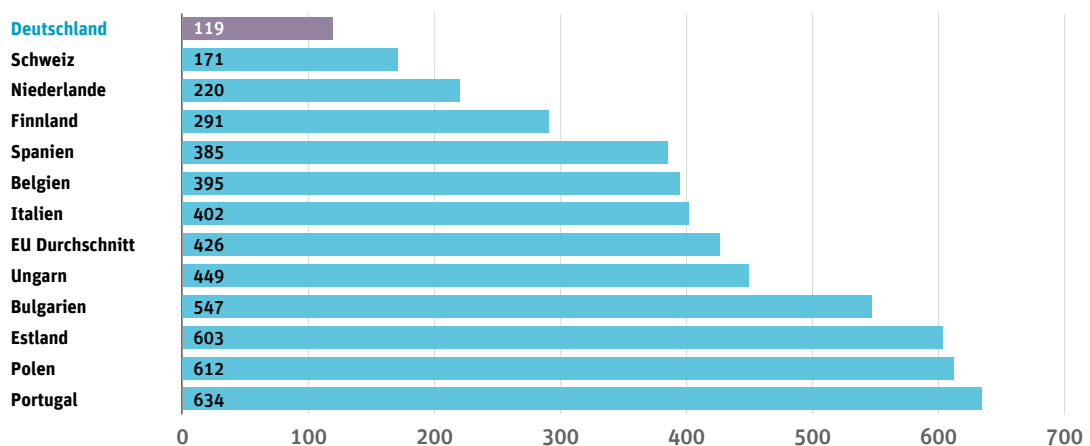
## 4 Zugang zu Innovationen

Der Zugang von Patienten zu innovativen Medikamenten unterscheidet sich zwischen den Gesundheitssystemen erheblich. Ursache sind abweichende Regulierungssysteme, insbesondere unterschiedliche HTA-Prozesse. In den folgenden drei Unterkapiteln wird der Zugang anhand von Kennzahlen für alle neuen Medikamente, für alle neuen onkologischen Medikamente und schließlich für neue Orphan drugs untersucht.

### 4.1 Zugang zu den neuesten zugelassenen Arzneimitteln

Damit Patienten von neuen Medikamenten profitieren können, muss das Präparat auf dem heimischen Markt verfügbar sein und zudem in die Erstattung der Kostenträger im Gesundheitswesen aufgenommen worden sein.<sup>8</sup> Die Zeitspanne zwischen der Zulassung eines Medikamentes und dem Patientenzugang unterscheidet sich zwischen den europäischen Ländern erheblich. Um dies zu verdeutlichen, wurde im Folgenden die durchschnittliche Zeitspanne zwischen der Genehmigung für das Inverkehrbringen eines Produktes und dem Patientenzugang, gemessen als Anzahl der Tage zwischen dem Datum der EU-Genehmigung für das Inverkehrbringen (oder der wirksamen Genehmigung für das Inverkehrbringen in Nicht-EWR-Ländern) und dem Tag des Abschlusses der Verwaltungsvorgänge nach der Genehmigung für das Inverkehrbringen, betrachtet.<sup>9</sup>

**Abb. 1: Durchschnittliche Marktzugangsverzögerung (in Tagen) für alle Medikamente der Generation 2015-2017 (Stand: 01.01.2019)**



Quelle: EFPIA Patient W.A.I.T. Indicator 2018 survey (IQVIA)

Den schnellsten Zugang zu einem neuen Medikament weist Deutschland auf. Durchschnittlich 119 Tage nach der EMA-Zulassung ist ein neues Präparat auf dem deutschen Markt verfügbar, wird von den Kostenträgern erstattet und steht dem Arzt als Therapieoption zur Verfügung. Der EU-Durchschnitt liegt bei 426 Tagen. Die zweitkürzeste Marktzugangsverzögerung weist die Schweiz auf. In den Niederlanden liegt die Dauer, bis ein Medikament in der Versorgung ankommt, bereits fast doppelt so hoch wie in Deutschland. Die längste Zeitspanne weisen Estland, Polen und Portugal auf.

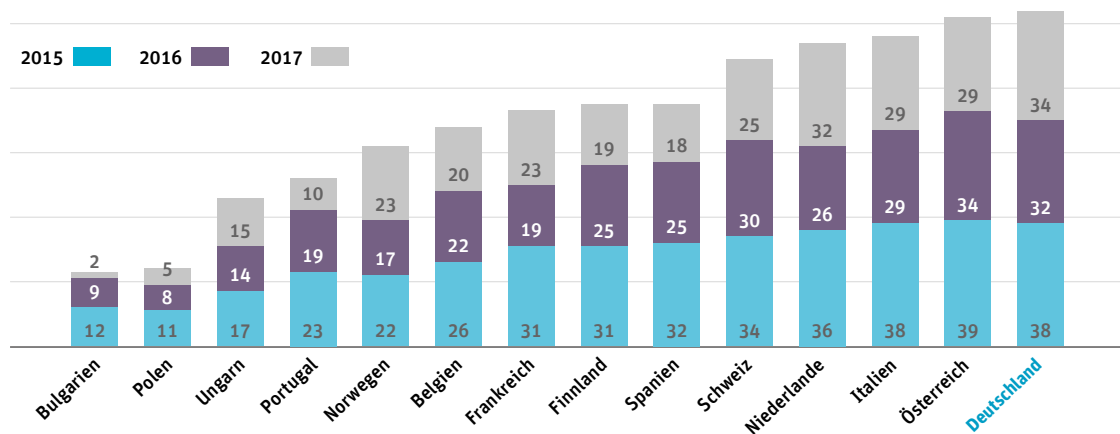
<sup>8</sup> Ein Bezug des Arzneimittels aus dem Ausland, eine Behandlung im Ausland oder auch eine Bezahlung des Präparates aus eigenen Mittel sind mögliche Ausweichmechanismen, die an dieser Stelle aber nicht näher untersucht werden.

<sup>9</sup> Vgl. EFPIA Patient W.A.I.T. Indicator 2018 survey.



Nicht alle in Europa zugelassenen Medikamente sind auch in allen Ländern im Leistungs- und Erstattungskatalog des Gesundheitswesens enthalten. Im Gegenteil: In der Mehrzahl der Länder stehen den Patienten nicht alle neuen Präparate zur Verfügung. Auch hierzu seien aktuelle Zahlen genannt.<sup>10</sup> Im Jahr 2015 wurden insgesamt 45 neue Medikamente in Europa zugelassen und in den Jahren 2016 und 2017 jeweils 38, insgesamt in diesen drei Jahren also 121. In Deutschland sind nach einer Auswertung von IQVIA 104 dieser Medikamente auf dem Markt. Besonders niedrige Werte weisen Bulgarien (23) und Polen (24) auf.<sup>11</sup>

**Abb. 2: Verfügbare Medikamente der Generation 2015-2017 (Stand: 01.01.2019)**



Quelle: EFPIA Patient W.A.I.T. Indicator 2018 survey (IQVIA)

Bei Betrachtung der Verfügbarkeit von Medikamenten in den EU-Ländern sieht man große Unterschiede, die auf die verschiedenen HTA-Prozesse der einzelnen Länder zurückzuführen sind. Es sind auch Auffälligkeiten zu sehen, die über übliche Unterschiede, z.B. zwischen Ost- und West-Europa, hinausgehen. So zeigen auch Länder mit vergleichbar ausgebauten Sozialsystemen eine viel niedrigere Verfügbarkeitsrate als Deutschland. Selbst im Wohlfahrtsstaat Norwegen stehen den Ärzten nur etwa die Hälfte (62) aller neuen Wirkstoffe der betrachteten Jahre zur Verfügung. Nur wenig besser platziert sich Finnland (75).

#### 4.1.1 Onkologische Medikamente

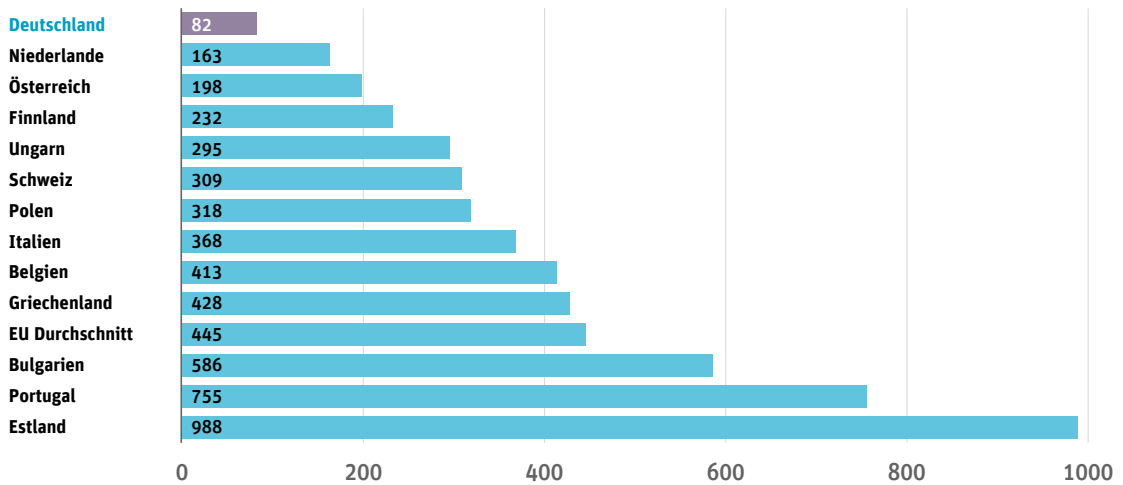
Bei Onkologika ist der Zugang zu Präparaten und dabei der Faktor Verfügbarkeit von besonderer Bedeutung. Analog zur Situation bei allen neuen Medikamenten (voriges Unterkapitel) zeigt sich auch bei onkologischen Medikamenten, dass das deutsche Gesundheitssystem im internationalen Vergleich einen sehr schnellen Zugang zu neuen Arzneimitteln ermöglicht. Die folgende Abbildung zeigt die Zeitspanne, die sich bei onkologischen Medikamenten von der Zulassung bis zum jeweiligen Marktzugang ergibt.<sup>12</sup>

<sup>10</sup> Die zitierte Studie erfasst die Verfügbarkeit der Medikamente der Jahrgänge 2015-2017 bis zum 01.01.2019.

<sup>11</sup> Vgl. EFPIA Patient W.A.I.T. Indicator 2018 survey. Für manche Länder, wie Großbritannien, sind keine Zahlen bezüglich der nationalen Erstattung vorhanden. IQVIA verweist in seiner Publikation ergänzend auf Verkaufszahlen. Da hierdurch aber die Vergleichbarkeit eingeschränkt ist, wurden diese Länder hier nicht dargestellt. Auch nach der IQVIA-Vorgehensweise liegt Deutschland auf dem Spitzenplatz.

<sup>12</sup> Vgl. EFPIA Patient W.A.I.T. Indicator 2018 survey.

**Abb. 3: Durchschnittliche Marktzugangsverzögerung (in Tagen), onkologische Medikamente der Generation 2015-2017 (Stand: 01.01.2019)**



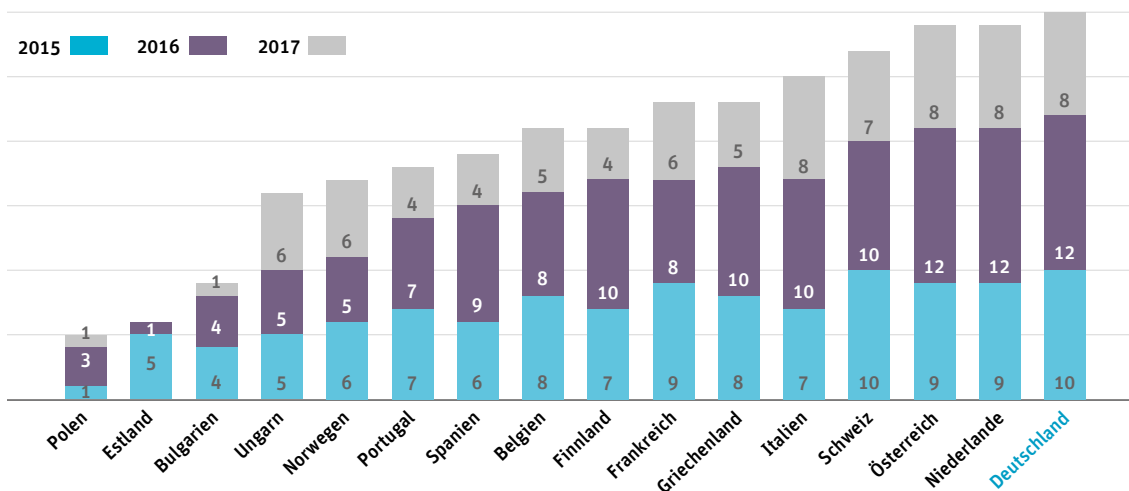
Quelle: EFPIA Patient W.A.I.T. Indicator 2018 survey (IQVIA)

Onkologische Medikamente stehen in Deutschland bereits 82 Tage nach Zulassung für die Patienten und Ärzte zur Verfügung. Der EU-Durchschnitt liegt bei 445 Tagen. Ähnlich wie bei der vergleichbaren Darstellung zu allen Medikamenten, gibt es erhebliche Unterschiede zwischen den einzelnen Ländern.

In den Jahren 2015 bis 2017 wurden insgesamt 31 neue onkologische Wirkstoffe in Europa zugelassen (2015:10, 2016:12, 2017:9).<sup>13</sup> In Deutschland stehen derzeit 30 der insgesamt 31 in Europa neu zugelassenen onkologischen Medikamente den Ärzten und Patienten zur Verfügung. In keinem anderen nationalen Gesundheitssystem sind so viele neue onkologische Medikamente für die Patienten verfügbar.

In allen anderen europäischen Ländern werden in der Versorgung teilweise deutlich weniger der neu zugelassenen onkologischen Medikamente vom Erstattungssystem erfasst und können deshalb in der Therapie nicht eingesetzt werden.

**Abb. 4: Verfügbare onkologische Medikamente der Generation 2015-2017 (Stand: 01.01.2019)**



Quelle: EFPIA Patient W.A.I.T. Indicator 2018 survey (IQVIA)

<sup>13</sup> Vgl. EFPIA Patient W.A.I.T. Indicator 2018 survey.

Eine Betrachtung der Medikamente, die im Jahr 2018 für die Zulassung empfohlen wurden<sup>14</sup>, verdeutlicht für jedes einzelne in diesem Jahr zugelassene Medikament die Unterschiede in der Verfügbarkeit. Insgesamt wurden im Jahr 2018 zehn onkologische Präparate, davon drei „Orphan Drugs“, durch die EMA zugelassen. Die folgende Tabelle zeigt das jeweilige Zulassungsdatum und die aktuelle Verfügbarkeit auf dem Markt.<sup>15</sup>

**Tabelle 1: Verfügbarkeit onkologischer Medikamente mit EMA-Zulassung, empfohlen in 2018 (Stand: 31.10.2019)**

Medikament (Wirkstoff)	Indikation	EMA- Zulassung	Verfügbarkeit						
			DEU	NDL	GBR	FIN	SWZ	BEL	ESP
<b>Rubraca*</b> (Rucaparib)	Eierstockkrebs, Eileiterkrebs, primärer Bauchfellkrebs	23.05.2018							
<b>Kymriah*</b> (Tisagenlecleucel)	B-Zell-Lymphomen, akute lymphatische Leukämie	22.08.2018							
<b>Yescarta*</b> (Axicabtagen- Ciloleucel)	B-Zell-Lymphome	23.08.2018							
<b>Nerlynx</b> (Neratinib)	Hormon-Rezeptor- positiver Brustkrebs	31.08.2018							
<b>Braftovi</b> (Encorafenib)	malignes Melanom	19.09.2018							
<b>Mektovi</b> (Binimetinib)	malignes Melanom	20.09.2018							
<b>Imfinzi</b> (Durvalumab)	nicht kleinzelliges Bronchialkarzinom	21.09.2018							
<b>Verzenio</b> (Abemaciclib)	Hormon-Rezeptor- positiver Brustkrebs	26.09.2018							
<b>Alunbrig</b> (Brigatinib)	nicht kleinzelliges Bronchialkarzinom	22.11.2018							
<b>Erleada</b> (Apalutamid)	nicht metastasiertes Prostatakarzinom	14.01.2019							

\*Medikamente mit Orphan drug – Status

Legende: (DEU) Deutschland, (NDL) Niederlande, (GBR) Großbritannien, (FIN) Finnland, (SWZ) Schweiz, (BEL) Belgien, (SPA) Spanien. **lila: nicht verfügbar, blau: verfügbar**

Quelle: Tabelle aus eigener Recherche. Folgende Datenbanken wurden als Quellen für die Erstellung der Tabelle benutzt: European Medicines Agency, <https://www.ema.europa.eu/en>; Veröffentlichung von Gesundheitsinformation, Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG), <https://www.gesundheitsinformation.de/>; College ter Beoordeling van Geneesmiddelen, <https://www.geneesmiddeleninformatiebank.nl/nl/>; Electronic medicines compendium (emc), <https://www.medicines.org.uk/emc/>; Finnish Medicines Agency (Fimea), [https://www.fimea.fi/web/en/databases\\_and\\_registers](https://www.fimea.fi/web/en/databases_and_registers); Schweizerisches Heilmittelinstitut, <http://www.swissmedicinfo.ch/>; Arzneimittel-Kompendium der Schweiz, <https://compendium.ch/>; Federal Agency for Medicines and Health Products (FAMHP) in Belgium, <https://www.famhp.be/en/famhp>; Medicinal product database (FAMHP), <https://banquedonneesmedicaments.afmps-fagg.be/#/>; Ministerio de Sanidad, Consumo y Bienestar Social, <https://www.mschs.gob.es/en/home.htm>.

Nur in Deutschland sind alle onkologischen Medikamente des 2018er Jahrgangs auf dem Markt. Das neueste zugelassene Medikament (Erleada, 14.01.2019) ist außer in Deutschland nur in den Niederlanden bereits für die Versorgung der Patienten verfügbar. Die drei Präparate mit „Orphan drug“-Status

14 Vgl. EMA Annual Report 2018, S. 52.

15 Tabelle aus eigener Recherche.

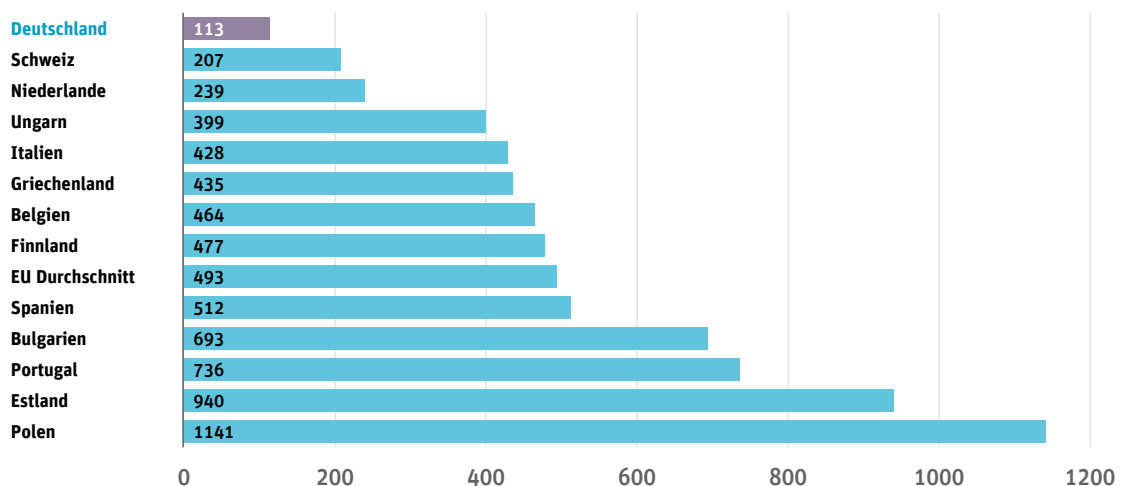
(Rubraca, Kymriah und Yescarta), die bereits Mitte 2018 zugelassen worden sind, werden in den meisten aufgeführten Ländern noch nicht erstattet. Die Onkologika, die im dritten Quartal 2018 von der EMA zugelassen worden sind, zeigen die beste Verfügbarkeitsrate. Trotzdem stehen einige dieser Medikamente, beispielsweise in Belgien und Spanien, nicht für die Patienten zur Verfügung.

#### 4.1.2 Orphan Drugs

„Orphan drugs“ ist die Bezeichnung für Medikamente gegen seltene Erkrankungen. Seit dem Inkrafttreten einer EU-Förderung der „Orphan drugs“ im Jahr 2000 wird die Entwicklung derartiger Medikamente besonders gefördert. Da auch in der Onkologie Medikamente mit einem „Orphan drugs“-Status eine größere Rolle spielen, werden sie in diesem Unterkapitel näher betrachtet.

Bei Betrachtung des durchschnittlichen Marktzugangs zeigt sich ein vergleichbares Bild wie in den beiden vorigen Unterkapiteln. In keinem anderen europäischen Land sind „Orphan drugs“ bereits so schnell nach der Zulassung auf dem Markt wie in Deutschland. Im Durchschnitt dauert es nur 113 Tage. Bereits bei der zweitplatzierten Schweiz sind es mit 207 Tagen fast doppelt so viele Tage. Der EU-Durchschnitt beträgt 493 Tage.

**Abb. 5: Durchschnittliche Marktzugangsverzögerung (in Tagen), Orphan Drugs der Generation 2015-2017 (Stand: 01.01.2019)**



Quelle: EFPIA Patient W.A.I.T. Indicator 2018 survey (IQVIA)

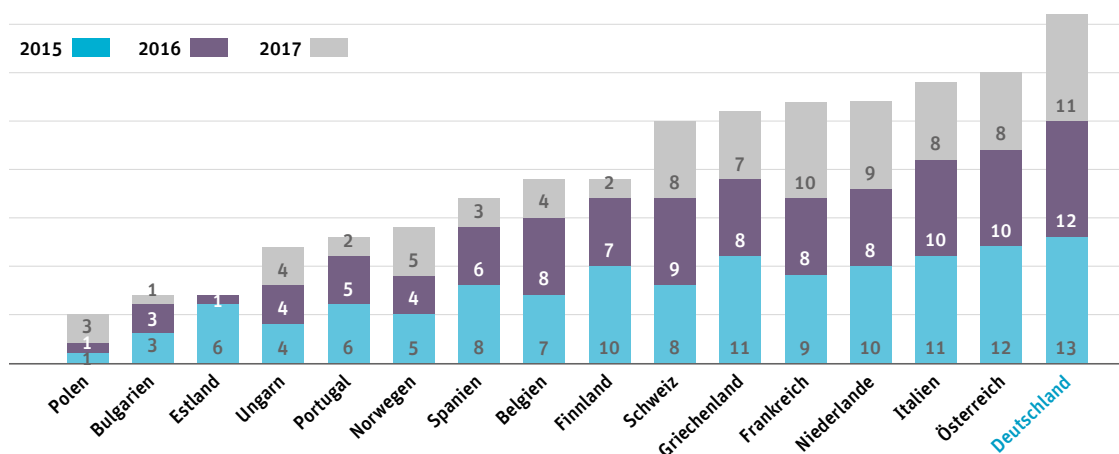
In den Jahren 2015 bis 2017 wurden insgesamt 38 „Orphan drugs“ über alle Indikationsgebiete in Europa zugelassen (2015:13, 2016:13, 2017:12).<sup>16</sup>

In Deutschland sind 36 dieser 38 Medikamente auf dem Markt. Damit belegt Deutschland auch in dieser Bewertung wieder den Spitzenplatz. In den Niederlanden und in Frankreich sind beispielsweise nur 27 und in der Schweiz 25 „Orphan drugs“ verfügbar sind. Die niedrigsten Zahlen weisen in Europa Bulgarien (7) und Polen (4) auf.<sup>17</sup>

<sup>16</sup> EFPIA Patient W.A.I.T. Indicator 2018 survey.

<sup>17</sup> Vgl. EFPIA Patient W.A.I.T. Indicator 2018 survey.

Abb. 6: Verfügbare Orphan Drugs der Generation 2015-2017 (Stand: 01.01.2019)



Quelle: EFPIA Patient W.A.I.T. Indicator 2018 survey (IQVIA)

Insgesamt wurden seit dem Jahr 2000 durch EMA 143 Medikamente mit dem Status „Orphan drug“ zugelassen. Hiervon befinden sich 134 (93,7 %) auf dem deutschen Markt. Diese Marktdurchdringung erreicht kein anderes europäisches Land. Beispielsweise liegt die Quote in Spanien nur bei 54,2 % und in Italien bei 87,4 %.<sup>18</sup>

Tabelle 2: Verfügbarkeit und Erstattungsfähigkeit von zugelassenen Orphan Drug-Medikamenten (Stand: 2019)

Land	Verfügbarkeit		Erstattungsfähig	
	Gesamtzahl	% von insg. 143	Gesamtzahl	% von insg. 143
Deutschland	134	93,7 %	133	93,0 %
Frankreich	108	75,5 %	108	75,5 %
Italien	125	87,4 %	84	58,7 %
Spanien	79	54,2 %	75	52,4 %
England	120	82,8 %	68	46,9 %

Quelle: Orphanet Journal of Rare Diseases (2019): Comparing access to orphan medicinal products in Europe

<sup>18</sup> Vgl. Zamora et al., Orphanet Journal of Rare Diseases (2019).

## 5 Fazit

In einer alternden Bevölkerung sowie infolge der insgesamt steigenden Lebenserwartung nimmt die Bedeutung von Krebserkrankungen zu. Während sich die Zahl der Neuerkrankungen in den letzten Jahrzehnten jedoch deutlich erhöht hat, sinkt die Sterblichkeit bei einer Reihe von Krebserkrankungen, wie zum Beispiel bei Darmkrebs. Eine wichtige Rolle spielen hierbei Früherkennungsuntersuchungen. Für die Therapie von entdeckten Tumoren benötigt es einen schnellen Zugang zu wirksamen und innovativen Behandlungen. Die vorliegende Untersuchung verdeutlicht, dass im europäischen Vergleich deutliche Unterschiede zu erkennen sind. Die Zeitspanne zwischen der Zulassung eines Medikamentes durch die EMA und dem Inverkehrbringen auf den einzelnen nationalen Märkten weicht deutlich zwischen den Ländern ab. Das deutsche Gesundheitssystem weist dabei den mit Abstand schnellsten Marktzugang auf. Dies ist besonders bei onkologischen Präparaten wesentlich für eine Behandlung der Patienten. Zudem sind in Deutschland fast alle neu zugelassenen Medikamente auf dem Markt, während in anderen EU-Ländern teilweise deutlich weniger Präparate in den Leistungskatalog bzw. das Erstattungssystem der nationalen Gesundheitssysteme aufgenommen wurden. Das deutsche Gesundheitssystem bietet damit im internationalen Vergleich einen sehr guten und schnellen Zugang zu neuen onkologischen Präparaten.

Eine wesentliche Ursache für die Unterschiede zwischen den EU-Ländern sind die Besonderheiten der nationalen Regulierungssysteme und hierbei insbesondere die im Detail verschiedenartigen HTA-Prozesse. In einer Reihe von Ländern sind die Medikamente erst verfügbar, wenn sie einen teils langwierigen HTA-Prozess durchlaufen haben. In Deutschland sind die Medikamente bereits vor Abschluss der Kosten-Nutzenbewertung durch den G-BA auf dem Markt und in der Erstattung. Weitere Gründe für die Spitzenposition Deutschlands sind die Attraktivität des Pharmamarktes Deutschland für die forschenden Pharmaunternehmen sowie die sehr gute medizinische Infrastruktur, die bei vielen neuen onkologischen Präparaten oftmals unerlässlich ist. Die Europäische Kommission hat die Problematik der sehr unterschiedlichen Verfügbarkeit erkannt und strebt eine Vereinheitlichung der Prozesse auf EU-Ebene an. Es gilt, diesen Prozess und seine möglichen Auswirkungen zu beobachten.

## Literaturverzeichnis

**Alastair J. Munro** (2014): Comparative cancer survival in European countries, doi: 10.1093/bmb/ldu009, unter <https://academic.oup.com/bmb/article/110/1/5/278036> (abgerufen am 10.10.2019).

**Anna Prokúpková, Maarten van den Ende, Guy Muller, Linda Aagaard Thomsen, Jes Søgaard, Dimitri Kohler, Ward Rommel, Paul Gordon, Théau Brigand** (2018): Let´s talk access! White paper on tackling challenges in access to medicines for all cancer patients in Europe.

**Bernarda Zamora, Francois Maignen, Phill O´Neill, Jorge Mestre-Ferrandiz and Martina Garau** (2019): Comparing access to orphan medicinal products in Europe, <https://doi.org/10.1186/s13023-019-1078-5> (abgerufen am 09.10.2019).

**Buchholz, Christian J.; Hartmann, Jessica; Schüßler-Lenz, Martina; Keller-Stanislawski, Brigitte**, Deutsches Ärzteblatt (01/2018): CAR-T-Zell-Therapie: Aussichten und Risiken, DOI 10.3238/PersOnko.2018.02.16.07 (abgerufen am 27.09.2019).

**Deloitte Centre for Health Solutions** (2019): Patient access to innovative medicines in Europe. A collaborative and value based approach.

**EORTC** (European Organisation for Research and Treatment of Cancer) - Clinical trials database, <https://www.eortc.org/clinical-trials-database/#status=2|1> (abgerufen am 31.10.2019).

**European medicines agency (EMA)**: Annual Report 2018. The European medicines agency´s contribution to science, medicines and health in 2018.

**German Cancer Research Center in the Helmholtz-Association (DKFZ)** (2016): Cancer research at DKFZ 2016.

**Hömke R.**, Die forschenden Pharma-Unternehmen (2019): Neue Krebsmedikamente im EU-Zulassungsverfahren sowie zugelassene Krebsmedikamente, die noch nicht auf den deutschen Markt gebracht wurden (ohne Biosimilars).

**IQVIA**: EFPIA (European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations) Patient W.A.I.T. Indicator 2018 survey, 3. April 2019.

**Jürgen Lücke, Mathias Bädeker, Markus Hildinger, Biotech-Report**: Medizinische Biotechnologie in Deutschland 2017.

**Kandolf, S.L., et al.**, European Journal of Cancer (2017): More than 5000 patients with metastatic melanoma in Europe per year do not have access to recommended first-line innovative treatments, DOI: 10.1016/j.ejca.2017.01.012 (abgerufen am 22.11.2019).

**Kleinjen, S., George, E., Goulden, S., et al.** (2012). 'Relative effectiveness assessment of pharmaceuticals: similarities and differences in 29 jurisdictions'. Value Health, (15), 954-960. Stand: 6 Januar, 2016, von [http://www.valueinhealthjournal.com/article/S1098-3015\(12\)01609-9/pdf](http://www.valueinhealthjournal.com/article/S1098-3015(12)01609-9/pdf) (abgerufen am 07.10.2019).

**Korzilius, Heike, Deutsches Ärzteblatt** (7/2018): Health Technology Assessment: Eine Bewertung für ganz Europa, <https://www.aerzteblatt.de/archiv/196379> (abgerufen am 23.10.2019).

**Malvezzi, M et al.** (2018): European cancer mortality predictions for the year 2018 with focus on colorectal cancer. Annals of Oncology, Onlinevorabveröffentlichung am 19. März 2018, <https://doi.org/10.1093/annonc/mdy033> (abgerufen am 29.11.2019).

**Mock A, Heilig CH, Kreutzfeldt S, Hübschmann D, Heining C, Schröck E, Brors B, Stenzinger A, NCT/DKTK MASTER Network, Jäger D, Schlenk RF, Glimm H, Fröhling S, Horak P.** (2019): Community-driven development of a modified progression-free survival ratio for precision oncology, <http://dx.doi.org/10.1136/esmoopen-2019-000583> (abgerufen am 25.11.2019).

**OECD/EU Publishing, Paris** (2018): Health at a Glance: Europe 2018. State of Health in the EU Cycle, [https://doi.org/10.1787/health\\_glance\\_eur-2018-en](https://doi.org/10.1787/health_glance_eur-2018-en) (abgerufen am 01.10.2019).

**Robert-Koch-Institut** (2016), Zentrum für Krebsregisterdaten: Bericht zum Krebsgeschehen in Deutschland.

**Verband Forschender Arzneimittelhersteller e.V.** (2017): Die Arzneimittelindustrie in Deutschland, <https://www.vfa.de/de/presse/publikationen>

**Verband Forschender Arzneimittelhersteller e.V.:** Wie aus Wissen medizinischer Fortschritt wird. Neue Krebsmedikamente, <https://www.vfa.de/de/presse/publikationen> (abgerufen am 15.11.2019).

**Wayne Su, Cameron Lockwood** (2018): Comparing health outcome differences due to drug access: A model in non-small cell lung cancer (abgerufen am 04.10.2019).

### Datenbanken:

Arzneimittel-Kompendium der Schweiz, <https://compendium.ch/>

College ter Beoordeling van Geneesmiddelen, <https://www.geneesmiddeleninformatiebank.nl/nl/>

Electronic medicines compendium (emc), <https://www.medicines.org.uk/emc/>

European Medicines Agency, <https://www.ema.europa.eu/en>

European Organisation for Research and Treatment of Cancer, <https://www.eortc.org/>

Federal Agency for Medicines and Health Products (FAMHP) in Belgium, <https://www.famhp.be/en/famhp>

Finnish Medicines Agency (Fimea), [https://www.fimea.fi/web/en/databases\\_and\\_registers](https://www.fimea.fi/web/en/databases_and_registers)

Medicinal product database (FAMHP), <https://banquededonneesmedicaments.afmps-fagg.be/#/>

Ministerio de Sanidad, Consumo y Bienestar Social, <https://www.mscbs.gob.es/en/home.htm>

Schweizerisches Heilmittelinstitut, <http://www.swissmedicinfo.ch/>

Veröffentlichung von Gesundheitsinformation, Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG), <https://www.gesundheitsinformation.de/>



## WIP-Veröffentlichungen seit 2012

Arzneimittelversorgung von Privatversicherten 2019 – Zahlen, Analyse, PKV-GKV-Vergleich, WIP-Analyse 5/2019, Christian O. Jacke, Sonja Hagemeister, Frank Wild, ISBN 978-3-9818269-9-9

Mehrumsatz und Leistungsausgaben von PKV-Versicherten - Jahresbericht2019, WIP-Analyse 4/2019, Sonja Hagemeister, ISBN 978-3-9818269-8-2

Die versteckte Verschuldung der Sozialen Pflegeversicherung, WIP-Analyse 3/2019, Christine Arentz, Maik Moritz, Holger Eich, Frank Wild, ISBN 978-3-9818269-7-5

Szenarien zur zukünftigen Finanzentwicklung der Sozialen Pflegeversicherung, WIP-Analyse 2/2019, Christine Arentz, ISBN 978-3-9818269-6-8

Pflegefinanzierung im gesellschaftlichen Kontext denken, WIP-Kurzanalyse April 2019, Christine Arentz, Frank Wild

Verschreibung cannabinoidhaltiger Arzneimittel, WIP-Kurzanalyse März 2019, Christian O. Jacke

Impfung gegen humane Papillomviren (HPV) – Eine Analyse der Arzneimittelverordnungsdaten in der PKV 2006 bis 2016, WIP-Analyse 1/2019, Tina Lohse, Christian O. Jacke, Frank Wild, ISBN 978-3-9818269-4-4

Überblick über die Entwicklung der Leistungsausgaben und der Beitragseinnahmen in PKV und GKV 2009 bis 2019, WIP-Analyse 4/2018, Christine Arentz, Holger Eich, Frank Wild, ISBN 978-9818269-5-1

Arzneimittelversorgung von Privatversicherten 2018 – Zahlen, Analyse, PKV-GKV-Vergleich, WIP-Analyse 3/2018, Christian O. Jacke, Sonja Hagemeister, Frank Wild, ISBN 978-3-9818269-3-7

Mehrumsatz und Leistungsausgaben von PKV-Versicherten - Jahresbericht2018, WIP-Analyse 2/2018, Sonja Hagemeister, Frank Wild, ISBN 978-3-9818269-2-0

Die Krankenversicherung in den Niederlanden seit 2006 - Analyse der Reform und ihrer Auswirkungen, WIP-Analyse 1/2018, Christine Arentz

Wartezeiten auf Arzttermine: Eine methodische und empirische Kritik der Debatte, WIP-Diskussionspapier 3/2017, Verena Finkenstädt

Regionale Verteilung von Ärzten in Deutschland und anderen ausgewählten OECD-Ländern, WIP-Diskussionspapier 2/2017, Christine Arentz

Arzneimittelversorgung der Privatversicherten 2017 – Zahlen, Analysen, PKV-GKV-Vergleich, Christian O. Jacke, Frank Wild, ISBN 978-3-9818269-1-3

Die Bedeutung der Privatversicherten für Apotheken, WIP-Kurzanalyse 1/2017, Frank Wild

Mehrumsatz und Leistungsausgaben in der PKV – Jahresbericht 2017, WIP-Diskussionspapier 1/2017, Sonja Hagemeister, Frank Wild

Zugangshürden in der Gesundheitsversorgung – Ein europäischer Überblick, Verena Finkenstädt, ISBN 978-3-9818269-0-6

Mehrumsatz und Leistungsausgaben in der PKV - Eine Analyse auf Basis der Daten von 2006-2014, WIP-Diskussionspapier 1/2016, Frank Wild

Volkswirtschaftliche Wirkungen der Alterungsrückstellungen in der Privaten Kranken- und Pflegeversicherung, WIP-Kurzanalyse 3/2016, Frank Wild, Christine Arentz

Entwicklung der Beitragseinnahmen in PKV und GKV, WIP-Kurzanalyse 2/2016, Christine Arentz, Holger Eich, Frank Wild

Die Heilmittelversorgung der Privatversicherten im Jahr 2014 - Mehrumsatz und Unterschiede zur GKV, WIP-Kurzanalyse 1/2016, Verena Finkenstädt

Die ambulante ärztliche Versorgung in Deutschland, den Niederlanden und der Schweiz, WIP-Diskussionspapier 4/2015, Verena Finkenstädt

Prävalenz und Krankheitskosten der HIV-Infektion in der PKV, WIP-Kurzanalyse 3/2015, David Bowles, Verena Finkenstädt, Frank Wild

Verlagerung staatlicher Finanzierungsaufgaben auf die Beitragszahler - Eine Analyse unter besonderer Berücksichtigung der PKV, WIP-Kurzanalyse 2/2015, Frank Wild

Ausgaben der Privatversicherten für ambulante Hebammenleistungen, WIP-Diskussionspapier 3/2015, Frank Wild

Volkswirtschaftliche Wirkungen der Alterungsrückstellungen in der Privaten Kranken- und Pflegeversicherung – Aktualisierte Werte des Beitrags zum Nettosparvolumen Deutschlands, WIP-Kurzanalyse 1/2015, Frank Wild

Der überproportionale Finanzierungsbeitrag privat versicherter Patienten im Jahr 2013, WIP-Diskussionspapier 2/2015, Frank Niehaus

Pflege: Notwendigkeit der Kapitaldeckung bleibt – Eine Analyse der neusten Entwicklung, WIP-Diskussionspapier 1/2015, Frank Niehaus

Arzneimittelversorgung der Privatversicherten 2013 – Zahlen, Analysen, PKV-GKV-Vergleich, Frank Wild, ISBN 978-3-9813569-8-4

Die Aussagekraft von Länderrankings im Gesundheitsbereich – Eine Analyse des Einflusses der Altersstruktur auf die OECD-Daten, Verena Finkenstädt, Frank Niehaus, ISBN 978-3-9813569-7-7

Die Heilmittelversorgung der PKV und GKV-Versicherten im Vergleich, WIP-Diskussionspapier 02/2014, Verena Finkenstädt

Die Arzneimittelversorgung bei Multipler Sklerose in der PKV, WIP-Diskussionspapier 1/2014, Frank Wild

Arzneimittelversorgung der Privatversicherten 2012 – Zahlen, Analysen, PKV-GKV-Vergleich, Frank Wild, ISBN 978-3-9813569-6-0

Volkswirtschaftliche Wirkungen der Alterungsrückstellungen in der Privaten Kranken- und Pflegeversicherung – Ein Beitrag zur aktuellen Reformdiskussion, Bruno Schönfelder, Frank Wild, ISBN 978-3-9813569-5-3

Das Gesundheitssystem in Singapur, WIP-Diskussionspapier 3/2013, Verena Finkenstädt

HIV-Infektion in der PKV – Prävalenz, Inzidenz und Arzneimittelversorgung, WIP-Diskussionspapier 2/2013, Verena Finkenstädt, Frank Wild

Der überproportionale Finanzierungsbeitrag privat versicherter Patienten – Die Entwicklung von 2006 bis 2011, WIP-Diskussionspapier 1/2013, Frank Niehaus

Rationierung und Versorgungsunterschiede in Gesundheitssystemen – Ein internationaler Überblick, Verena Finkenstädt, Frank Niehaus, ISBN 978-3-9813569-4-6

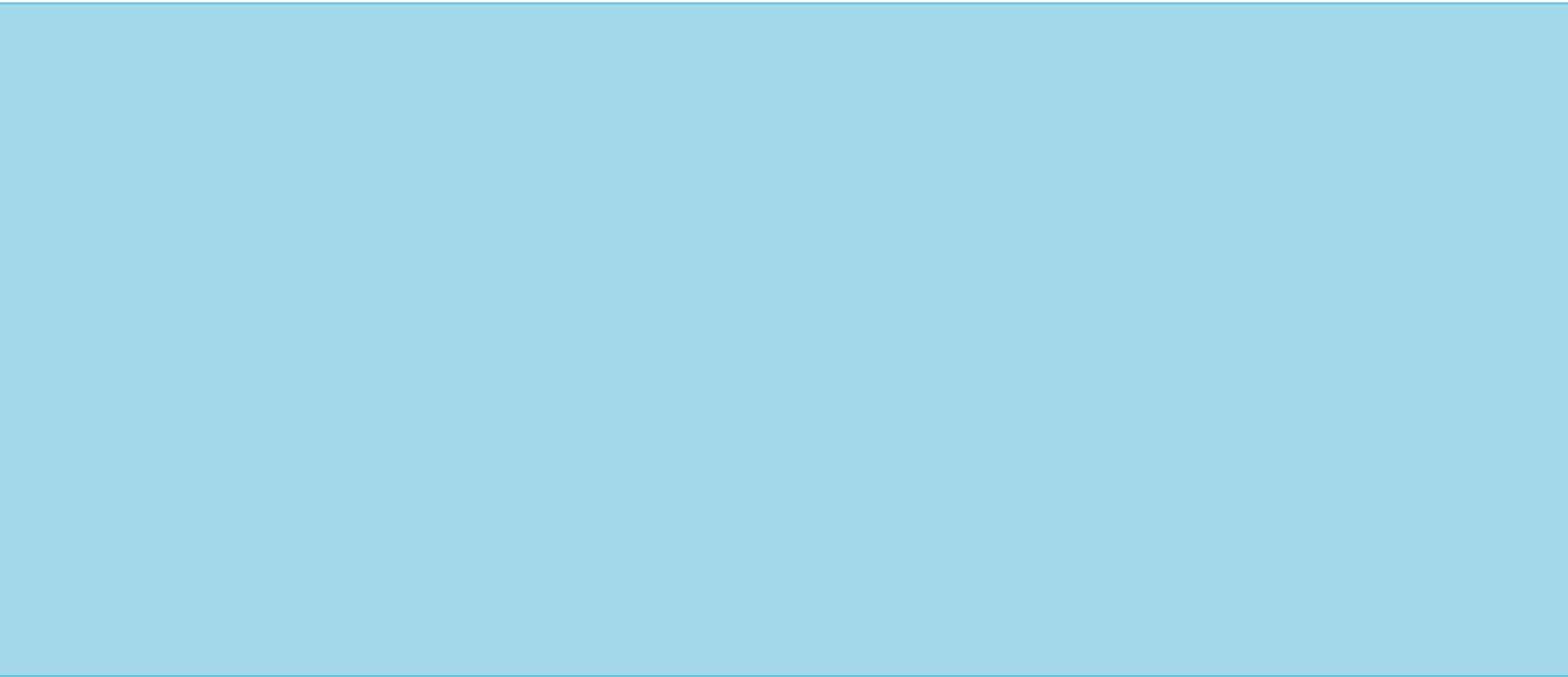
Ausgabensteigerungen bei Arzneimitteln als Folge von Innovationen, Eine Analyse der Verordnungen von monoklonalen Antikörpern in der PKV, WIP-Diskussionspapier 4/2012, Frank Wild

Die sozioökonomische Struktur der PKV-Versicherten – Ergebnisse der Einkommens- und Verbrauchsstichprobe 2008, WIP-Diskussionspapier 3/2012, Verena Finkenstädt, Torsten Keßler

Geburten- und Kinderzahl im PKV-GKV-Vergleich - Eine Analyse der Entwicklung von 2000 bis 2010, WIP-Diskussionspapier 2/2012, Frank Niehaus

Arzneimittelversorgung der Privatversicherten 2010 – Zahlen, Analysen, PKV-GKV-Vergleich, Frank Wild, ISBN 978-3-9813569-1-5

Vom Originalpräparat zum Generikum – Wann erfolgt eine Umstellung der Medikation bei Privatversicherten, WIP-Diskussionspapier 1/2012, Frank Wild



**WIP**

Wissenschaftliches  
Institut der PKV