

## ZUSAMMENFASSUNG

Die forschende Pharma- und Biotech-Industrie, die allein schon durch ihre hohen Forschungsaufwendungen zu den Hightech-Industriezweigen zählt, ist über ihre kontinuierlichen Innovationen ein wesentlicher Treiber des medizinischen Fortschritts. Innovationen zeigen sich dabei nicht allein in neuen Medikamenten und therapeutischen Optionen, sondern im gesamten Leistungsangebot dieser Industrie. Innovationen können Sprung- oder Schritt-Innovationen sein – in jedem Fall führen sie zu medizinischem Fortschritt, sind von Nutzen für den einzelnen Patienten und sind gesamtgesellschaftlich unverzichtbar für den Wissenschafts-, Wirtschafts- und Innovationsstandort Deutschland.

Die Pharma- und Biotech-Unternehmen erforschen, entwickeln und produzieren innovative Arzneimittel samt geeigneter Applikationshilfen (Devices) und Services und generieren zudem auch erhebliches Wissen – in Netzwerken und enger Kooperation mit Stakeholdern in Deutschland und vielen anderen Ländern weltweit. Dieses Wissen stellt – neben der „Hardware“ Medikamente – ein wichtiges Exportgut für unser rohstoffarmes Land dar, schafft international Wettbewerbsvorteile und trägt mit dazu bei, Fortschritt und Wohlstand in Deutschland zu sichern.

Die forschenden Pharma- und Biotech-Unternehmen werden auch künftig

- kontinuierlich Schrittinnovationen liefern, also Medikamente mit besserer Verträglichkeit, günstigerem Nebenwirkungsprofil und/oder einfacherer Anwendung,
- Sprunginnovationen in den Markt bringen, also Medikamente in gänzlich neuen Anwendungsgebieten oder mit vollkommen neuem Wirkmechanismus und
- Angebote für Patienten über das eigentliche Medikament hinaus machen, wie beispielsweise Applikationshilfen (Devices) oder Services wie Beratungs- oder Schulungsprogramme für Diabetiker oder Asthmatiker.

Die forschende Pharma- und Biotech-Industrie setzt sich im gesellschaftlichen Dialog mit allen relevanten Stakeholdern aktiv ein:

- für die Akzeptanz und Wertschätzung von Innovationen,
- für eine ausgewogene Chancen-Risiken-Bewertung dieser Innovationen und
- für den Erhalt sowie die Stärkung des Innovationskreislaufs durch adäquate Anreize.

## Inhalt

Seite 2/10

Innovation – allgemeine Definition.....	3
Das Angebot: Wissen, Expertise, Innovationen.....	3
In Zukunft: Lösungen für den weiterhin hohen Bedarf an innovativen Medikamenten und Therapien .....	5
Hohe Forschungs- und Entwicklungsaufwendungen - risikoreiches Geschäftsmodell .....	7
Welche Rahmenbedingungen werden benötigt, um den Innovationskreislauf zu erhalten und zu stärken –Forderungen und Wünsche des vfa .....	7

## Definition Innovation

Seite 3/10

Der Begriff Innovation wird sehr häufig verwendet, doch bleibt mitunter unklar, was genau damit gemeint ist. Deshalb sollen nachfolgend die Interpretation und die Bedeutung von Innovationen für die forschenden Pharma- und Biotech-Unternehmen dargestellt werden.

Innovation kommt vom lateinischen Wort *novus* (= neu). Eine *innovatio* ist deshalb etwas neu Geschaffenes. Aber: Nicht alles Neue ist auch eine Innovation. Hierzu wird häufig Joseph Schumpeter (österreichischer Ökonom, 1883-1950; „*Theorie der wirtschaftlichen Entwicklung*“ 1911) zitiert: „Innovation ist die Durchsetzung einer technischen oder organisatorischen Neuerung im Produktionsprozess, nicht schon die entsprechende Erfindung.“ Der Innovationsbegriff geht heute aber weit über den Produktionsprozess hinaus und schließt ein vermarktungsfähiges Produkt ein.

## Das Angebot: Wissen, Expertise, Innovationen

Eine pharmazeutische Innovation kann am ehesten als ein technologischer Fortschritt definiert werden, der zu einem völlig neuen Produkt oder zu einem therapeutischen Mehrwert eines bereits existierenden Produktes mit einem Vorteil für die Patienten führt.

Innovationen der forschenden Pharma- und Biotech-Industrie umfassen die drei folgenden Dimensionen:

1. Produkt- und Prozessinnovationen
2. Innovationen mit Blick auf den Nutzen für den Patienten
3. Innovationen mit Blick auf den Nutzen für die Gesellschaft

Dabei umfassen Prozessinnovationen nicht nur den reinen Produktionsprozess eines Medikaments, sondern beispielsweise auch Verbesserungen für die Patienten im Therapiemanagement. Produktinnovationen in den Bereichen Pharma und Biotech sind:

- Neue Wirkstoffe gegen zuvor nicht medikamentös behandelbare Krankheiten
- Neue Wirkstoffe oder -prinzipien bei bisher nicht adäquat therapierbaren Krankheiten, z. B. solche, die ein Fortschreiten der Erkrankung verzögern oder die Folgeerkrankungen verringern
- Neue Darreichungs- oder Applikationsformen, durch die bekannte Wirkstoffe besser verfügbar werden und/oder geringere Nebenwirkungen entfalten und die damit auch die Therapietreue (Compliance bzw. Adhärenz) verbessern
- Neue Ansätze, die die Häufigkeit oder die Schwere von Nebenwirkungen reduzieren

- Neue Präparate zur Vorbeugung von Krankheiten, insbesondere Impfstoffe
- Bekannte Wirkstoffe für neue Indikationen
- Kombinationstherapien mit mehreren (bekannten) Medikamenten mit verbesserter Wirkung und/oder günstigerem Nebenwirkungsprofil.

Seite 4/10

Produktinnovationen können darüber hinaus zu folgenden deutlichen Verbesserungen für die Patienten führen und dabei auch gesamtgesellschaftliche Relevanz aufweisen:

- Längere Überlebensdauer nach der Diagnose z.B. einer Krebserkrankung
- Vermeidung bzw. Verkürzung von Krankenhausaufenthalten
- Verhütung von Folgeschäden und Behinderungen
- Vermeidung von Arbeitsunfähigkeit und Frühverrentungen
- Verbesserung der Lebensqualität.

Außerdem stellen die forschenden Pharma- und Biotech-Unternehmen zunehmend auch geeignete Applikationshilfen (Devices) zur Verfügung. Gerade bei Arzneimitteln wie den Biopharmazeutika, die in der Regel nicht oral eingenommen werden können, spielen Devices eine wichtige Rolle. Sie ermöglichen eine regelmäßige Selbstanwendung durch die Patienten, wodurch deren Lebensqualität weniger beeinträchtigt wird und die Therapietreue verbessert werden kann. Das ist insbesondere bei chronischen Erkrankungen von großer innovativer Bedeutung.

In jedem Fall führen pharmazeutische Innovationen – sowohl Sprung- als auch Schrittinnovationen – zu medizinischem Fortschritt, sind von Nutzen für den einzelnen Patienten und sind gesamtgesellschaftlich unverzichtbar für den Wissenschafts-, Wirtschafts- und Innovationsstandort Deutschland.

### **Schrittinnovationen und Sprunginnovationen:**

Im Bereich Pharma und Biotech werden zwei Arten von Innovationen unterschieden.

**Sprunginnovationen** eröffnen Patienten erstmalige Therapiechancen durch Medikamente für bisher nicht behandelbare Krankheiten oder neue therapeutische Optionen durch neue Wirkmechanismen.

Aber auch **Schrittinnovationen** sind von großer Bedeutung für die Patienten, da sie zu kontinuierlichen Verbesserungen wie beispielsweise zu Medikamenten mit besserer Verträglichkeit, günstigeren Nebenwirkungsprofilen und/oder einfacherer Anwendung führen. Aus der Onkologie sind etliche Beispiele bekannt, wie durch Schrittinnovationen ein bedeutender Überlebensvorteil für die Patienten erzielt werden konnte. So konnte zum Beispiel durch Kombination von etablierten und innovativen Therapien in der Darmkrebstherapie das durchschnittliche Überleben von Patienten mit fortgeschrittenem Darmkrebs von sechs Monaten in den Jahren bis 1990 in verschiedenen Zwischenschritten auf mittlerweile über 30 Monate verlängert werden.

Über die Bereitstellung innovativer Therapien und Begleitangebote hinaus generieren die Unternehmen Wissen – in Netzwerken und enger Kooperation mit anderen Stakeholdern. Dies geschieht sowohl auf nationaler Ebene, wo es Kooperationen mit vielen Universitäten und außeruniversitären Forschungseinrichtungen wie Helmholtz, Fraunhofer- oder Max-Planck-Instituten, z.B. im Rahmen der Hightech-Strategie der Bundesregierung gibt, als auch international, z.B. bei der europäischen Innovative Medicines Initiative (IMI). Hinzu kommen Partnerschaften mit kleinen und mittelständischen Firmen aus dem Pharma- und Biotech- sowie Diagnostik-Bereich. Das so erzeugte Wissen kommt nicht nur Patienten in Deutschland zugute, sondern stellt für unser rohstoffarmes Land auch ein wichtiges Exportgut dar und schafft international Wettbewerbsvorteile. Zusammengefasst ist die forschende Pharma- und Biotech-Industrie ein Innovations- und Produktivitätstreiber, der nicht nur zum therapeutischen Fortschritt, sondern auch zur Stärkung des Wirtschafts- und Innovationsstandorts Deutschland beiträgt.

### **In Zukunft: Lösungen für den weiterhin hohen Bedarf an innovativen Medikamenten und Therapien**

Trotz aller Erfolge der vergangenen Jahre bei der Verbesserung der Arzneimitteltherapie ist der Bedarf an innovativen Medikamenten und Therapien weiterhin ungebrochen: So gibt es erst für ungefähr ein Drittel der 30.000 bekannten Krankheiten gute Behandlungsmöglichkeiten. Darüber hinaus kommen kontinuierlich neue Krankheiten

hinzu, die sich teilweise rasch weltweit verbreiten und somit eine große Gefahr für die gesamte Menschheit darstellen können. Dazu gehören z. B. HIV/AIDS, Ebola, das schwere akute Atemwegssyndrom (SARS), die Vogelgrippe (aviäre Influenza H5N1) sowie EHEC (enterohämorrhagischer *E. coli*), MERS (Middle Eastern Respiratory Syndrome) und das Zika-Virus. Außerdem kehren einige lange bekannte und vermeintlich besiegte Infektionskrankheiten wie Tuberkulose auch aufgrund der Zunahme von Resistenzen zurück. Pharmazeutische Forschung ist daher kein endlicher Prozess, sondern eine kontinuierliche Herausforderung.

Dies ist spätestens 2015 wieder verstärkt ins Bewusstsein gerückt, als die Staats- und Regierungschefs der G7-Staaten beim Gipfel in Deutschland gemeinsame Maßnahmen gegen Antibiotika-Resistenzen beschlossen haben. Damit wurde ein Thema aktuell gemacht, das lange Zeit für erledigt gegolten hatte: Die Verfügbarkeit wirksamer Antibiotika. In den letzten Jahren wurden immer häufiger Krankheitserreger entdeckt, die Resistenzen gegenüber den Antibiotika besitzen, mit denen sie eigentlich behandelt werden sollen. Daher besteht akuter Bedarf an innovativen Antibiotika und an alternativen Forschungsansätzen, Krankheitserreger unschädlich zu machen. Dies stellt nicht nur eine Herausforderung für die Wissenschaft und Industrie dar, sondern auch für die Politik. Daher spielt dieses Thema nicht nur auf nationaler Ebene im Rahmen des Pharmadialogs der Bundesregierung mit Wissenschaft und Pharmaindustrie eine Rolle, sondern auch auf Ebene der G7- und G20-Staaten.

Effektive Pharmaforschung ist eine entscheidende Voraussetzung, um solchen globalen Bedrohungen begegnen zu können. Aber auch die demografische Entwicklung bringt enorme Herausforderungen mit sich: Die Zunahme der meist in fortgeschrittenem Alter auftretenden Krankheiten wie Parkinson, Arthrose, Osteoporose und Demenz, aber auch Diabetes und Krebs, verlangt allein schon aus ökonomischen Gründen nach neuen Medikamenten und Therapien, da ansonsten die Kosten für Krankenhausbehandlungen und Pflegeleistungen exorbitant ansteigen. In diesem Kontext werden die Unternehmen auch den Wandel von der „Einheitsmedizin“ hin zur Personalisierten Medizin weiter vorantreiben, da diese Vorteile für die Patienten (schnellere Behandlung mit besserer Wirksamkeit oder Verträglichkeit), die Ärzte (gezielte Behandlung ohne längeres Herumprobieren) und die Kassen (höhere Kosteneffizienz) bietet. Hierfür sind Kooperationen mit der Diagnostik-Industrie unabdingbar.

Die Herausforderungen neuer komplexer Therapien verlangen aber auch nach der Zusammenarbeit mit anderen Bereichen der Medizintechnik und mit der IT-Branche sowie der Arbeit im Verbund von großen, kleinen und mittleren Unternehmen sowie Forschungsinstituten, um diese Aufgaben multiprofessionell und interdisziplinär anzugehen.

Aus ihrem Selbstverständnis heraus werden die Unternehmen auch künftig

- kontinuierlich Schrittinnovationen liefern, also Medikamente mit besserer Verträglichkeit, günstigeren Nebenwirkungsprofilen und/oder einfacherer Anwendung,
- Sprunginnovationen anbieten, also Medikamente in gänzlich neuen Anwendungsgebieten oder mit vollkommen neuem Wirkmechanismus und
- ihre Angebote für Patienten über das eigentliche Medikament hinaus auf Applikationshilfen (Devices) oder Services wie Beratungs- oder Schulungsprogramme für Diabetiker und Asthmatiker weiter ausbauen.

### Hohe Forschungs- und Entwicklungsaufwendungen – risikoreiches Geschäftsmodell

Pro Medikament mit neuem Wirkstoff, das die Zulassung erreicht, muss eine Firma 1 bis 1,6 Milliarden US-Dollar aufwenden. Nur eins von rund neun neuen Medikamenten, die die Phase I der klinischen Entwicklung erreicht haben, schafft es später auch bis zur Zulassung. Und obwohl die Kosten heute schon sehr hoch sind, werden diese künftig noch weiter steigen. So wachsen die Zulassungsanforderungen ständig, und die Zulassung ist praktisch immer mit Auflagen für weitere Studien verbunden.

Mehrkosten verursachen aber nicht nur Auflagen der Zulassungsbehörden. Auch die länderspezifischen Nutzen- oder Kosten-Nutzen-Bewertungen nach der Zulassung, von denen die Erstattungsfähigkeit der Präparate abhängt, verursachen wachsende Kosten, etwa für die Erstellung länderspezifischer Dossiers zu den Präparaten.

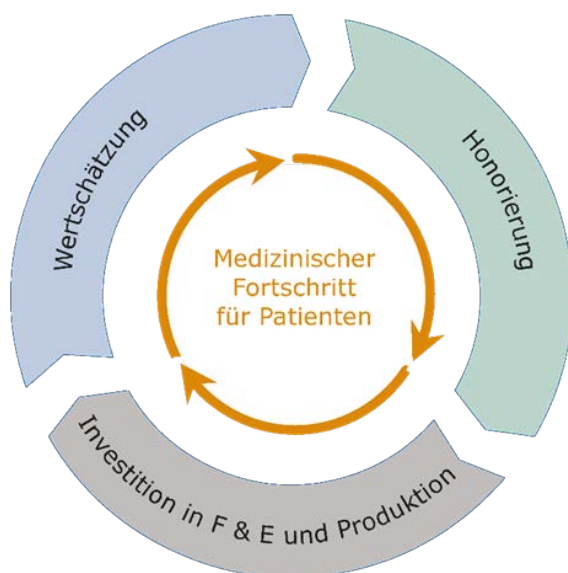
Schließlich nimmt auch das Entwicklungsrisiko bei der Erschließung neuer Anwendungsgebiete zu, da es hier größtenteils um komplexe Krankheiten wie beispielsweise Alzheimer geht. Nicht zuletzt treiben auch die langen Entwicklungszeiten die Kosten. Die Entwicklung eines Medikaments mit neuem Wirkstoff bis zur Zulassung dauert im Schnitt 13,5 Jahre; alle Prognosen für kürzere Entwicklungszeiten haben sich bisher als unzutreffend erwiesen, unter anderem da mehr und komplexere Studien für die Zulassung und anschließenden Erstattungsverhandlungen notwendig geworden sind.

### Welche Rahmenbedingungen werden benötigt, um den Innovationskreislauf zu erhalten und zu stärken – Empfehlungen des vfa

Innovationen brauchen Anerkennung und Wertschätzung. vfa und vfa bio setzen sich dafür ein, den Mehrwert innovativer Medikamente mit Blick auf den patientenindividuellen sowie gesamtgesellschaftlichen Nutzen zu verdeutlichen. Dies soll Verständnis für sowie Wertschätzung von Innovationen – basierend auf dem nach wie vor hohen „unmet medical need“ in vielen medizinischen Anwendungsgebieten – ermöglichen.

In diesem Kontext setzen sich vfa und vfa bio für eine ausgewogene Bewertung der Chancen und Risiken innovativer Medikamente ein, die dem Wert des Arzneimittels Rechnung trägt und z.B. auch Verbesserungen bzw. Einsparungen in anderen Sektoren wie der Pflege oder der Rentenversicherung mit berücksichtigt (Stichwort: value based healthcare). Hierfür streben vfa und vfa bio ein kooperatives Miteinander mit allen im Gesundheitswesen beteiligten Partnern – inklusive der Patienten – an, denn nur über einen solchen Weg werden sich neben den innovativen Medikamenten auch innovative Lösungen im Gesundheitswesen zum Wohle für die Patienten anbieten lassen. Und das ist mit Blick auf die Verfügbarkeit und den Zugang von Patienten zu künftigen Innovationen von entscheidender Relevanz.

Nur wenn Innovationen wertgeschätzt und angemessen honoriert werden, werden die forschenden Pharma- und Biotech-Unternehmen ihrerseits Mittel und Gelder in die Erforschung neuer Therapieansätze und innovativer Medikamente investieren können. Aus diesen können wiederum neue therapeutische Optionen zum Nutzen für betroffene Patienten und gleichermaßen neue Einnahmen für die Unternehmen resultieren, die ihrerseits dann in Forschungs-, Entwicklungs- und Produktionsaktivitäten reinvestieren können. So wird der Innovationskreislauf erhalten und gestärkt, der anderenfalls zusammenbrechen würde, wenn ein Teil dieses Kreislaufs herausgenommen oder entscheidend geschwächt würde.



**Der Innovationskreislauf:** Nur durch ein kooperatives Miteinander aller Partner im Gesundheitswesen lassen sich innovative Lösungen zum Wohle der Patienten realisieren.

Die Neugierde der Forscher, neue Ansätze zu erkunden, neue Wege zu beschreiten und die Grundlage für neue Produkte zu schaffen, stellt die Basis für jedweden Fortschritt dar und ist immanent verbunden mit technologischen Weiterentwicklungen. So hat sich jede Branche über die letzten Dekaden kontinuierlich weiterentwickelt und ist



bei den Automobilen ebenso wenig beim VW-„Brezelkäfer“ mit dem Stand der Technik aus dem Jahr 1946 stehengeblieben wie bei den Computern beim C64 aus dem Jahr 1982.

Seite 9/10

Die forschende Pharma- und Biotech-Industrie setzt sich im gesellschaftlichen Dialog mit allen relevanten Stakeholdern aktiv ein:

- für die Akzeptanz und Wertschätzung von Innovationen,
- für eine ausgewogene Chancen-Risiken-Bewertung dieser Innovationen und
- für den Erhalt sowie die Stärkung des Innovationskreislaufs durch adäquate Anreize.

Die folgenden Handlungsempfehlungen richten sich an die Politik und erstrecken sich auf alle Bereiche der Wertschöpfungskette inkl. der Finanzierung von Biotech Start-ups sowie der Erstattung innovativer Therapien:

- Verbesserung der naturwissenschaftlichen Ausbildung und der Kenntnisse im Bereich IT/KI
- Weitere Verbesserung der Rahmenbedingungen für klinische Forschung durch weitere Harmonisierung der Antragsverfahren (wie dies durch die EU-Verordnung ab voraussichtlich 2020 der Fall sein wird) und durch die Beseitigung der Probleme bei Studien mit Strahlen-Begleitdiagnostik (wie dies mit dem neuen Strahlenschutzgesetz ab Ende 2018/Anfang 2019 erhofft wird)
- Sicherung des geistigen Eigentums
- Verzicht auf innovationsfeindliche Maßnahmen in der Gesundheitspolitik - wettbewerbsfähige Weiterentwicklung von AMNOG und früher Nutzenbewertung
- Einführung einer steuerlichen Forschungsförderung
- Verbesserung der steuerlichen Rahmenbedingungen insbesondere für kleine, forschungsintensive Unternehmen.

Diese Maßnahmen können jedoch nur erfolgreich sein, wenn sie in ihrer Gesamtheit und in sich konsistent umgesetzt werden. Deutschland braucht deshalb eine nationale Forschungs- und Biotech-Strategie aus einem Guss, die gemeinsam von den Bundesministerien für Gesundheit, Forschung und Wirtschaft formuliert und umgesetzt wird; nur so ist eine optimale Nutzung verfügbarer finanzieller sowie struktureller Ressourcen und ein Aufrechterhalten des Innovationskreislaufes möglich. Die im Koalitionsvertrag festgehaltene Agenda "Von der Biologie zur Innovation" sollte in diesem Sinne wichtige Impulse setzen und Weichen stellen für mehr Innovationen "made in Germany" –

zum Nutzen für die Patienten, für die Gesellschaft und für den Standort Deutschland.

Seite 10/10

Denn pharmazeutische Innovationen haben Vorteile für

- die **Patienten** mit schweren und/oder chronischen Erkrankungen, weil ihnen neue therapeutische Optionen Linderung oder gar Heilung ermöglichen könnten,
- alle Menschen, weil Impfstoffe helfen, Infektionskrankheiten zu verhüten
- die **Gesellschaft**, weil neue Therapien helfen können, die Kosten für Arbeitsunfähigkeit bzw. Pflege zu senken und
- den **Standort Deutschland**, nicht zuletzt hinsichtlich des Erhalts und weiteren Ausbaus hoch qualifizierter Arbeitsplätze in einer zukunftssträchtigen, innovativen Industrie.

Stand: 08.2018