

Seltene Leiden: Orphan Drugs gegen Orphan Diseases

Erst zehn Prozent können behandelt werden

Interviewpartner:



Dr. Ed Mascioli, Head of the Rare Disease Research Unit von Pfizer Inc.

Interview mit Dr. Ed Mascioli, Head of the Rare Disease Research Unit von Pfizer Inc. (Cambridge, Mass.) über die aktuelle Forschungssituation bei «seltene Leiden».

? Herr Dr. Mascioli, Sie sind gegenwärtig am Kongress über Orphan Diseases in Genf. Wie gross ist das Interesse an diesem speziellen Thema?

Es sind ca. 250 Teilnehmer aus aller Welt an diesem dreitägigen Kongress versammelt.

? Und wie sind Orphan Diseases bzw. Orphan Drugs genau definiert?

Die Definition wird von den Regulationsbehörden bestimmt. In den USA hat die FDA diesen Status für Krankheiten festgelegt, die weniger als 200.000 Personen betreffen. In Europa gilt dieser Status für Krankheiten, die weniger als 5 von 10.000 Personen betreffen (Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. Dezember 1999 über Arzneimittel für seltene Leiden («orphan drugs»)).

? Ist die Anzahl an heute vorliegenden Medikamenten für Orphan Diseases ähnlich gering?

Ja, es sind 359 Medikamente für Orphan Diseases in den USA zugelassen. Der Bedarf an Orphan Drugs wäre aber für über 2000 Krankheiten vorhanden. Nur etwa 10% können derzeit behandelt werden.

? Um diese Lücke zu schliessen: Wie viele Orphan Drugs werden jährlich entwickelt?

Es werden etwa 10 bis 15 pro Jahr neu zugelassen.

? Werden dabei nur Medikamente oder auch Geräte oder Diagnostika entwickelt?

Es werden auch Geräte entwickelt. Bei den Diagnostika sind es meistens Speziallaboratorien, die entsprechende Tests entwickelt haben.

? Wie hoch sind die Kosten für die Entwicklung eines Orphan Drugs?

Sie sind gewöhnlich etwas tiefer als bei den Medikamenten für prävalentere Krankheiten. Dies dürfte teilweise auch mit den grossen klinischen Studien zusammenhängen, die bei konventionellen Medikamenten unablässlich sind.

? Und wer bezahlt die Behandlung mit einem Orphan Drug?

Dies sind Patientengruppen, Stiftungen, die Industrie und Regierungsorganisationen wie zum Beispiel das US-Gesundheitsinstitut NIH.

? Was passiert, wenn der Hersteller Profit macht, weil die Krankheit häufiger auftritt oder häufiger diagnostiziert wird?

Bis jetzt ist ein derartiger Fall nie vorgekommen.

? Welche Firmen sind vor allem auf dem Gebiet der Orphan Drugs tätig?

Dies sind vor allem kleinere Firmen, wie zum Beispiel Genzyme oder Takeda, aber praktisch auch alle grossen Firmen sind aktiv, so zum Beispiel auch Pfizer, Roche, Novartis, GlaxoSmithKline, MSD und Sanofi Aventis.

? Sie sind bei der Pfizer AG Leiter der Business Unit Rare Disease Research. Wie gross ist Ihre Business Unit?

Es sind 20 Leute, aber weitere Personen werden je nach Bedarf in den verschiedenen Programmen eingesetzt.

Vielen Dank für diesen Einblick, Herr Dr. Mascioli, und alle guten Wünsche für die Entwicklung weiterer nützlicher Orphan Drugs.

▼ Prof. Dr. Dr. h.c. Walter F. Riesen



Foto: Mauro Salvazzo - Fotolia.com