

# 10. Rare Diseases Dialog

## Therapeutische Zukunft bei seltenen Erkrankungen – Mythen, Fakten und Lösungen

Mag. Andreas Steiner

AOP Orphan International AG, Group CEO

[andreas.steiner@aoporphan.li](mailto:andreas.steiner@aoporphan.li)

Mittwoch, 10. November 2021

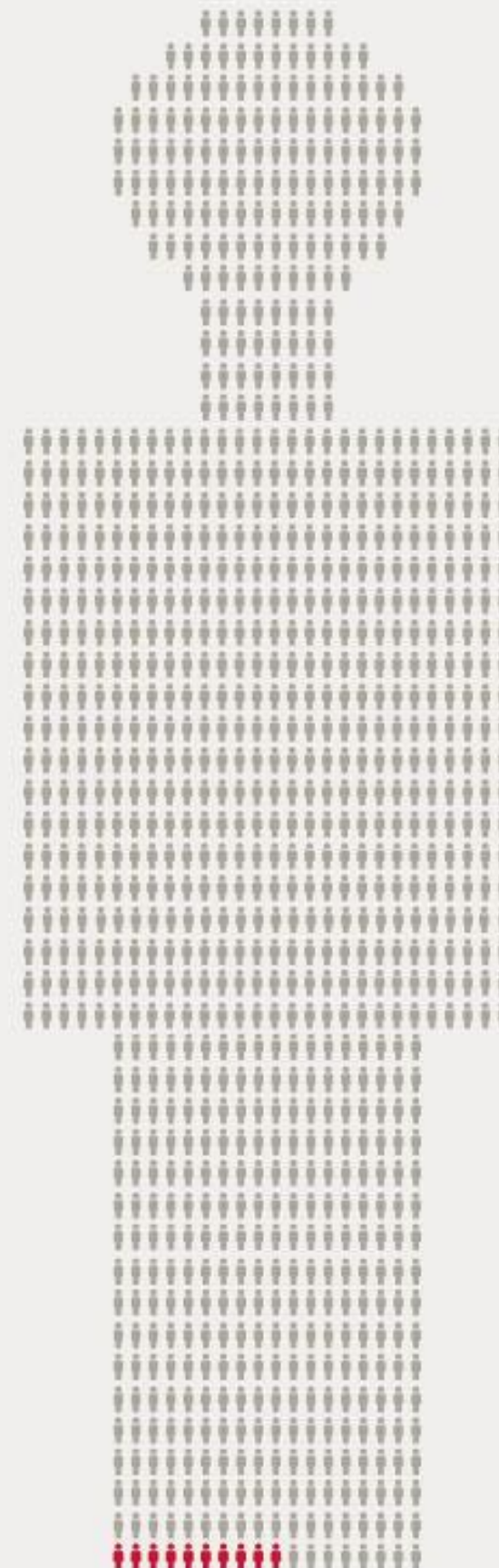
7.000 rare diseases  
95% untreated

400,000 patients in Austria  
30 million in Europe

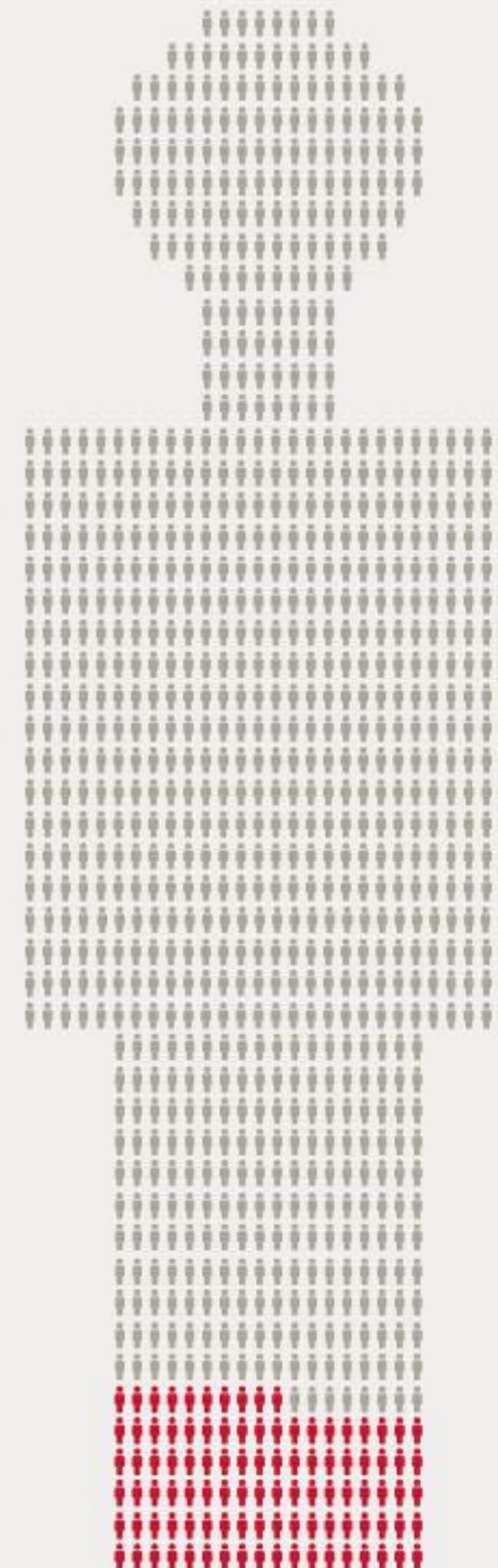
# Orphan (Rare) Diseases

OF 100,000 PERSONS...

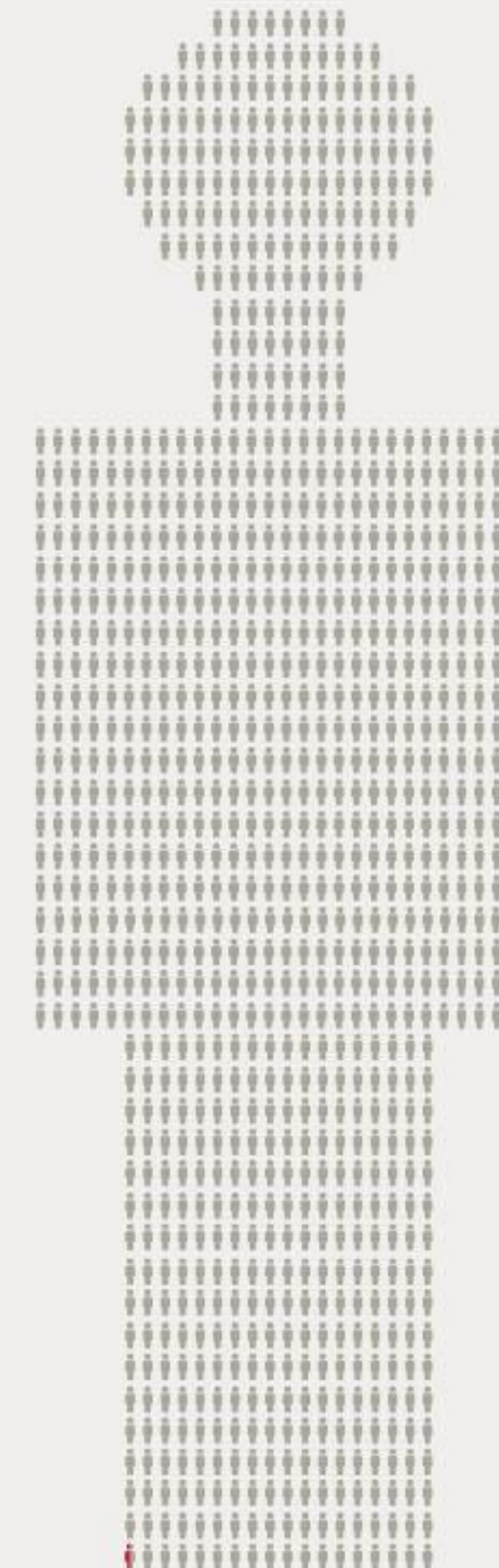
... 1,000 HAVE BREAST CANCER | ABOUT 1%



... 10,000 HAVE DIABETES | 10%

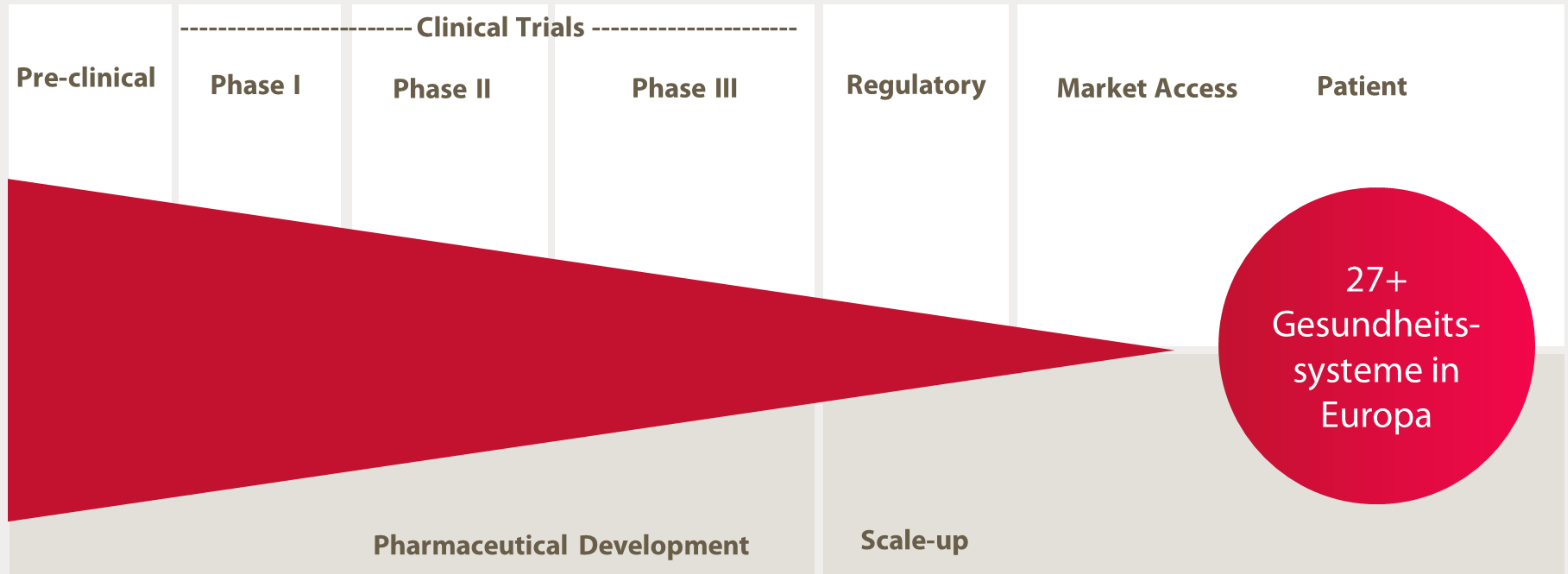


... 50 PERSONS HAVE A RARE DISEASE | 0,05%



👤 = 100 PERSONS

# Bringing Innovation To Patients



# Clinical Development Success Rates

Phase Success	Phase I to Phase II		Phase II to Phase III		Phase III to NDA/BLA		NDA/BLA to Approval	
	Advanced or Suspended	Phase Success	Advanced or Suspended	Phase Success	Advanced or Suspended	Phase Success	Advanced or Suspended	Phase Success
Hematology	86	73.3%	83	56.6%	64	75.0%	50	84.0%
Infectious disease	347	69.5%	286	42.7%	150	72.7%	133	88.7%
Ophthalmology	66	84.8%	101	44.6%	60	58.3%	40	77.5%
Other	96	66.7%	116	39.7%	46	69.6%	43	88.4%
Metabolic	95	61.1%	84	45.2%	35	71.4%	27	77.8%
Gastroenterology*	41	75.6%	56	35.7%	33	60.6%	26	92.3%
Allergy	37	67.6%	40	32.5%	14	71.4%	16	93.8%
Endocrine	299	58.9%	242	40.1%	143	65.0%	107	86.0%
Respiratory	150	65.3%	196	29.1%	45	71.1%	37	94.6%
Urology	21	57.1%	52	32.7%	21	71.4%	14	85.7%
Autoimmune	297	65.7%	319	31.7%	135	62.2%	86	86.0%
All Indications	3582	63.2%	3862	30.7%	1491	58.1%	1050	85.3%
Neurology	462	59.1%	465	29.7%	216	57.4%	161	83.2%
Cardiovascular	209	58.9%	237	24.1%	110	55.5%	76	84.2%
Psychiatry	154	53.9%	169	23.7%	70	55.7%	58	87.9%
Oncology	1222	62.8%	1416	24.6%	349	40.1%	176	82.4%
Likelihood of Approval	Phase I to Approval		Phase II to Approval		Phase III to Approval		NDA/BLA to Approval	
	LOA n	Phase LOA	LOA n	Phase LOA	LOA n	Phase LOA	LOA n	Phase LOA
Hematology	283	26.1%	197	35.7%	114	63.0%	50	84.0%
Infectious disease	916	19.1%	569	27.5%	283	64.5%	133	88.7%
Ophthalmology	267	17.1%	201	20.1%	100	45.2%	40	77.5%
Other	301	16.3%	205	24.4%	89	61.5%	43	88.4%
Metabolic	241	15.3%	146	25.1%	62	55.6%	27	77.8%
Gastroenterology*	156	15.1%	115	20.0%	59	55.9%	26	92.3%
Allergy	107	14.7%	70	21.8%	30	67.0%	16	93.8%
Endocrine	791	13.2%	492	22.4%	250	55.9%	107	86.0%
Respiratory	428	12.8%	278	19.6%	82	67.3%	37	94.6%
Urology	108	11.4%	87	20.0%	35	61.2%	14	85.7%
Autoimmune	837	11.1%	540	17.0%	221	53.5%	86	86.0%
All Indications	9985	9.6%	6403	15.3%	2541	49.6%	1050	85.3%
Neurology	1304	8.4%	842	14.2%	377	47.8%	161	83.2%
Cardiovascular	632	6.6%	423	11.2%	186	46.7%	76	84.2%
Psychiatry	451	6.2%	297	11.6%	128	49.0%	58	87.9%
Oncology	3163	5.1%	1941	8.1%	525	33.0%	176	82.4%

Quelle: [Clinical Development Success Rates 2006-2015 - BIO, Biomedtracker, Amplion 2016](#)

# Erfolgswahrscheinlichkeiten

## Rare Diseases: 1 von 80 in Onco (1,2 %)

Orphan drugs (industry, all indications)								
Therapeutic group	Phase 1 to Phase 2		Phase 2 to Phase 3			Phase 3 to Approval		Overall
	Total paths	POS <sub>1,2</sub> , %	Total paths	POS <sub>2,3</sub> , %	POS <sub>2,APP</sub> , %	Total paths	POS <sub>3,APP</sub> , %	POS, %
		(SE, %)		(SE, %)	(SE, %)		(SE, %)	(SE, %)
Oncology	1245	72.0	535	39.4	2.8	104	14.4	1.2

# OMP Regulation ist ein großer Erfolg: Forschungs- und Entwicklungsschub seit 2000

<b>Zulassung von 142 Arzneimittel mit Orphan-Status in 107 Indikationen für 6,3 Mio Patienten</b>
<b>55 Arzneimittel für seltene Erkrankungen speziell bei Kindern</b>
<b>Forschung und Zulassungen in fast allen wichtigen Therapiegebieten</b>
<b>77% der zugelassenen Orphan Drugs besitzen einen neuen Wirkstoff</b>
<b>F&amp;E auch im Bereich der <u>sehr</u> seltenen Erkrankungen: 1/3 der Orphan-Designationen für Erkrankungen mit einer Prävalenz von &lt;0,5 Patienten in 10.000 Personen</b>
<b>Zu insgesamt 698 unterschiedlichen seltenen Erkrankungen wird in 1.956 Projekten mit Orphan-Status geforscht</b>
<b>Die intensivierte Forschung ermöglicht Patienten im Rahmen von klinischen Studien einen frühen Zugang zu neuen Therapien</b>
<b>Bei onkologischen Arzneimitteln konnte eine Markteinführung um durchschnittlich 9 Monaten beschleunigt werden (<i>Wilking et al. 2019. 2. Vintura. 2020. 3. EFPIA. 2020</i>)</b>
<b>Betrachtet man die durchschnittlichen Entwicklungszeiten, so ist der Nutzen von 63 % der 2000-2019 designierten Arzneimitteln ODs noch nicht zum Tragen gekommen</b>

# Mythos vs. Fakt I

## Mythos:

Die  
Öffentlichkeit  
finanziert  
und  
Pharma-  
Unternehmen  
machen den  
Profit

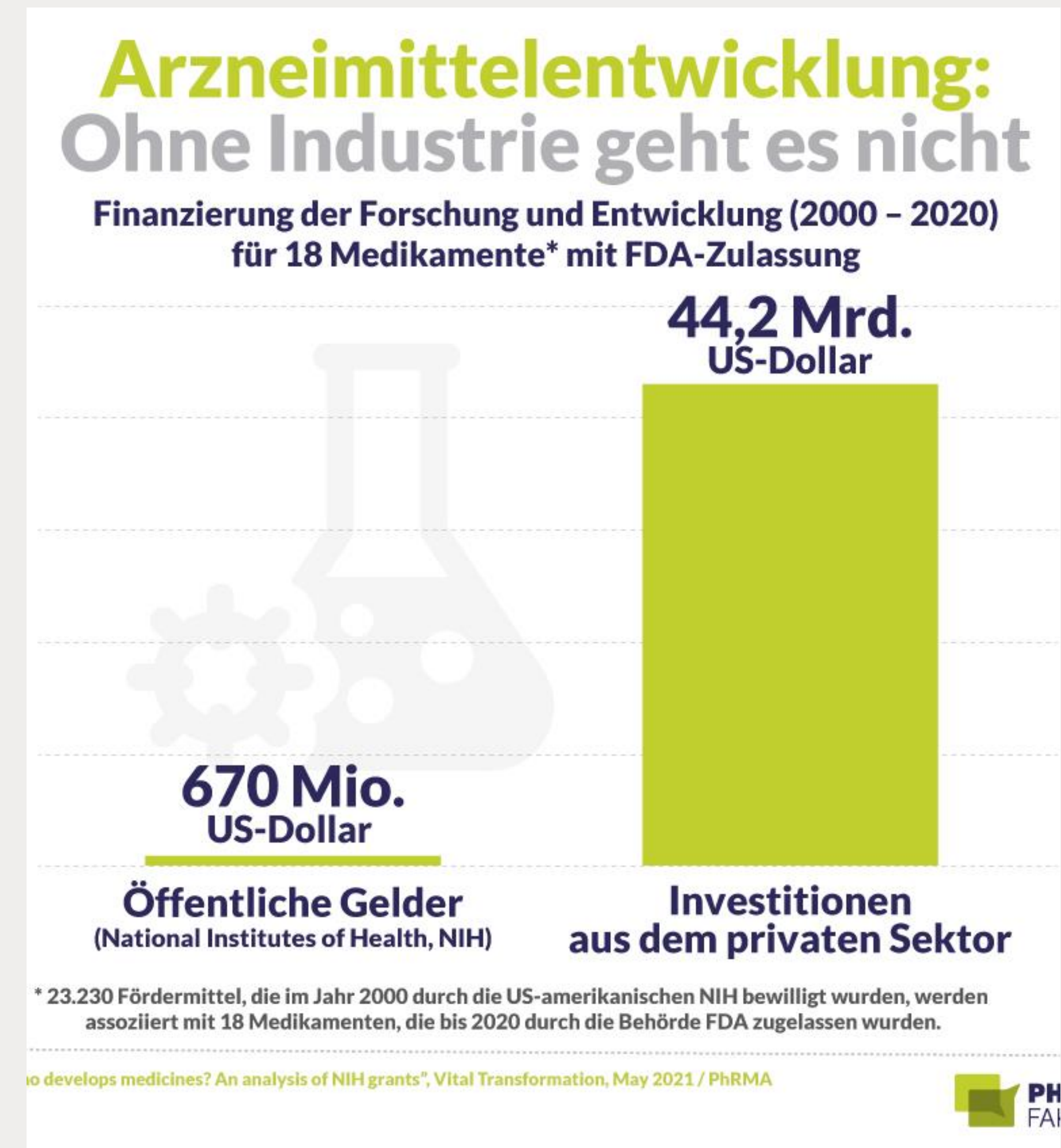
## Fakt:

Die Öffentlichkeit  
finanziert hauptsächlich  
Grundlagenforschung.

Klinische Forschung und  
Pharmazeutische  
Entwicklung ist ungleich  
risikoreicher und  
teurer und wird wenig  
gefördert.

# Kooperation zwischen Academia und Industrie ist essentiell

- Grundlagenforschung ist essenziell für jeglichen medizinischen Fortschritt; auch für die Entwicklung von Medikamenten.  
Aber sie ist **nicht die Arzneimittelentwicklung**
- Die Pharmaindustrie übersetzt die Erkenntnisse der Grundlagenforschung in sichere und wirksame Therapien für Patient\*innen
- Patient\*innen erhalten die Prüf- und die Vergleichsmedikation kostenfrei (und das oft bis lange nach dem Abschluss der Studie)



# Mythos vs. Fakt II

## Mythos:

Weniger  
Patient\*innen

Weniger  
Aufwand

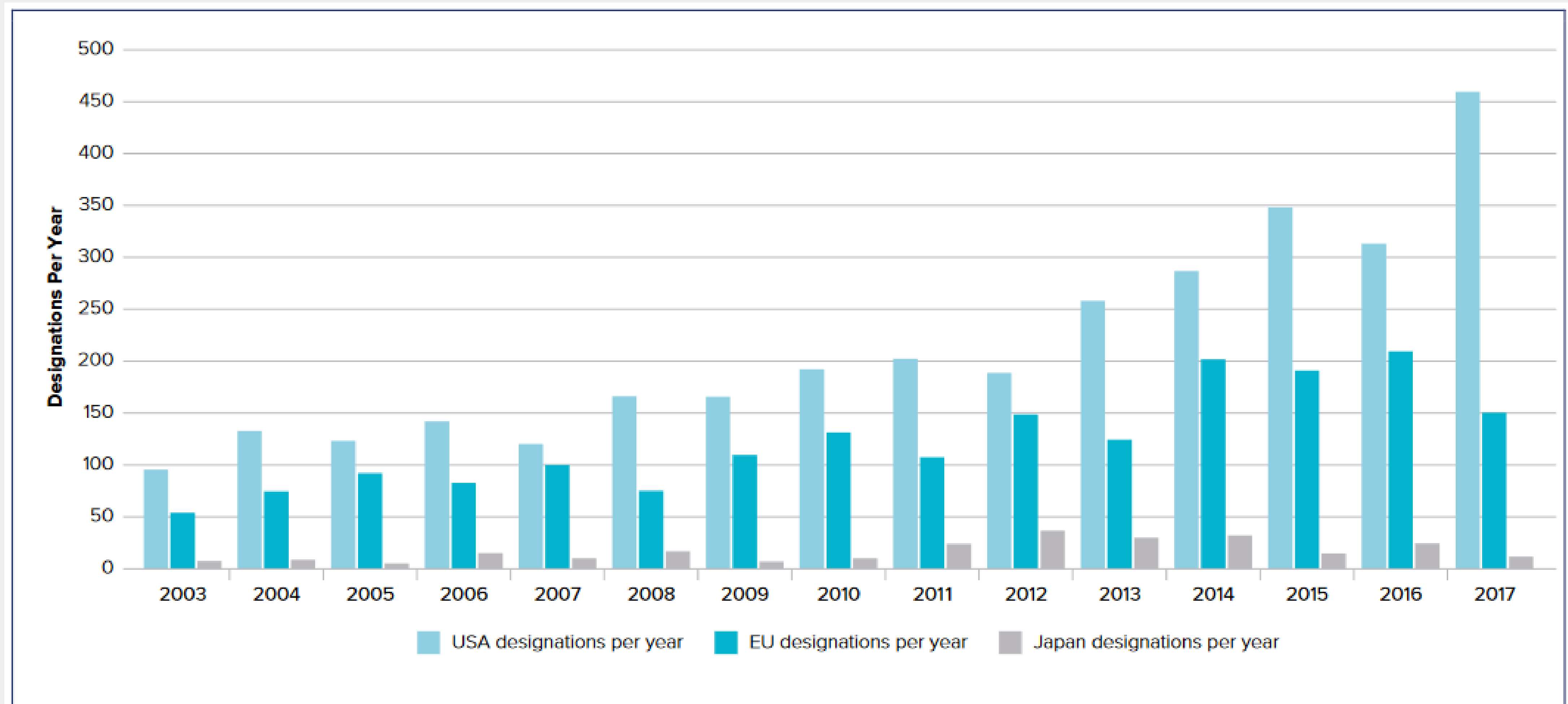
Weniger  
Kosten

## Fakt:

### Geringere Anzahl an Patient\*innen

- Begrenztes Wissen über die Krankheit
- Schwieriger zu diagnostizieren
- Komplexeres Studiendesign
- Hoher Studienaufwand (Finden der Patient\*innen)
- Statistische Signifikanz
- Höheres Risiko für Fehlschläge
- Investitionen müssen über wenige Patient\*innen erwirtschaftet werden.

# Die F&E Aktivität ist in den USA kontinuierlich deutlich höher als in der EU.



Quelle: [Study to support the evaluation of the EU Orphan Regulation \(Technopolis Report\) July 2019 \(Grafik 9\); EvaluatePharma Orphan Drugs Report 2018](#)

# Mythos vs. Fakt III

## Mythos:

Für Orphan Drugs gelten eigene, laxere Regeln.

## Fakt:

**Für Orphan Drugs gelten die gleichen strengen Regel.**

Nur:

- Teilweise geringere Fees
- Protocol Assistance, Scientific Advice
- Marktexklusivität

Aber auch:

- Post Authorisation Studies (PASS – post-authorisation safety studies und/oder PAES – post-authorisation efficacy studies) sowie das
- Führen von Registern

# Nur wenige erreichen Orphan Status!



Quelle: [Study to support the evaluation of the EU Orphan Regulation \(Technopolis Report\) July 2019 \(Grafik 8\); EMA data, 2018](#)

# Mythos vs. Fakt IV

## Mythos:

Orphan Drugs  
sind  
erhebliche  
Kostentreiber

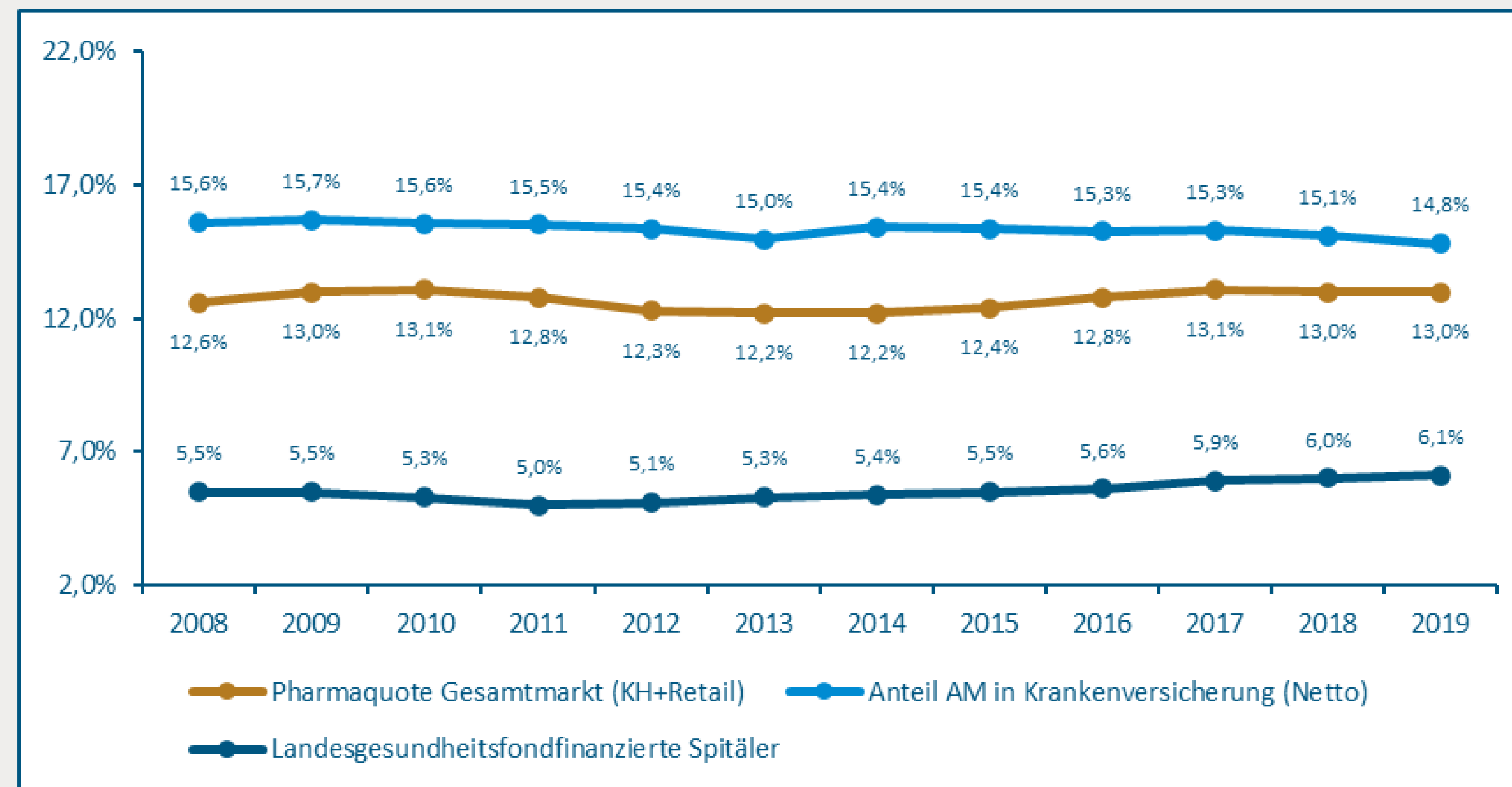
## Fakt:

Die Kosten für Arzneimittel  
sind in Österreich seit  
Jahren stabil.

# Anteil der Arzneimittelausgaben

Der Anteil der Arzneimittelausgaben an den Gesundheitsausgaben (=Pharmaquote) liegt seit 10 Jahren konstant zwischen 12 und 13%.

Anteil der Arzneimittelausgaben im KV- und Spitalsbereich



Quelle: Institut für pharmaökonomische Forschung (IPF), IQVIA, Statistik Austria, DV, BMASGK

AM-Anteil Brutto: inkl. Rezeptgebühr und 10% UST

AM-Anteil Netto: ohne Rezeptgebühr und UST

Keine Berücksichtigung von Rückzahlungen und Preismodellen

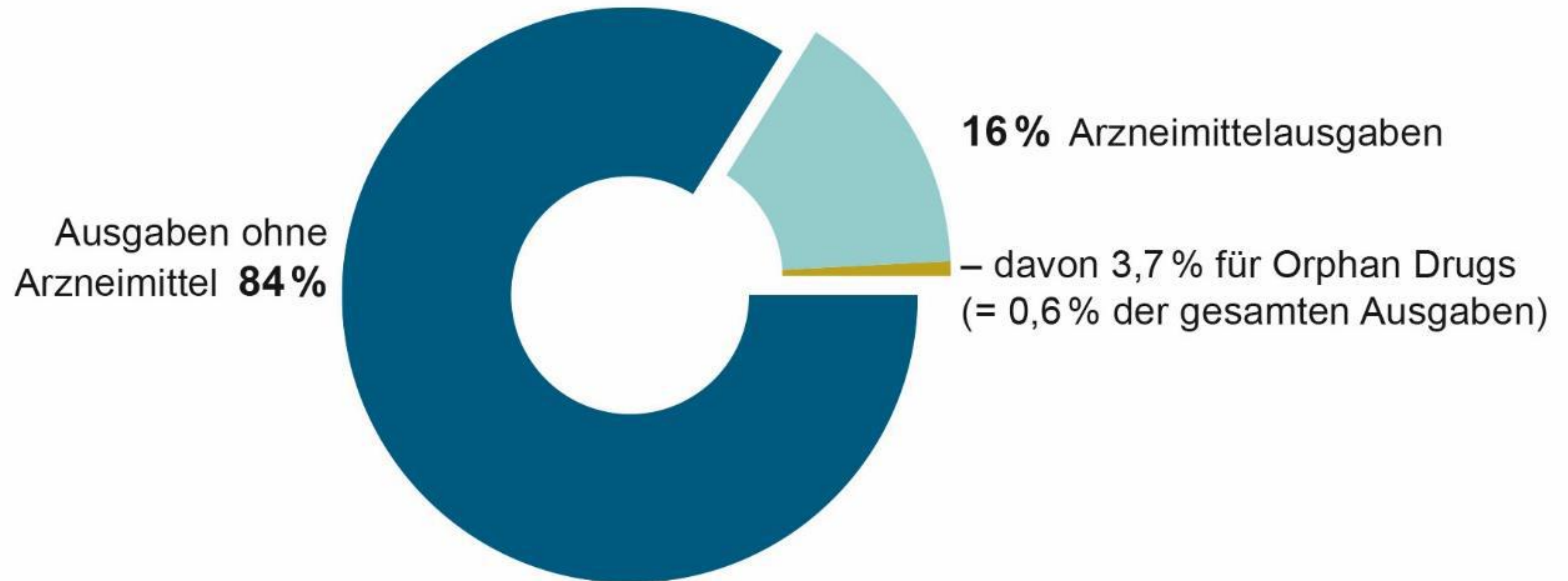
Facts and Figures zum österreichischen Gesundheitswesen 2021

Der niedergelassene Bereich und die Krankenanstalten unterliegen in Österreich unterschiedlichen Finanzierungssystemen. Ziel muss aber eine systemische, gesamtheitliche Betrachtungsweise sein, um eine optimale Betreuung der Patient\*innen zu gewährleisten.

Im niedergelassenen Bereich stiegen die Ausgaben der KVT für Arzneimittel in 2019 lediglich um 2,4% und sind damit der Ausgabenposten mit der geringsten Steigerungsrate. Sie bleiben auch deutlich unter der Steigerung der Beitragseinnahmen.

Im Krankenhausbereich spielen die Arzneimittelkosten mit einem Anteil von 6% eine nur untergeordnete Rolle an den Gesamtkosten.

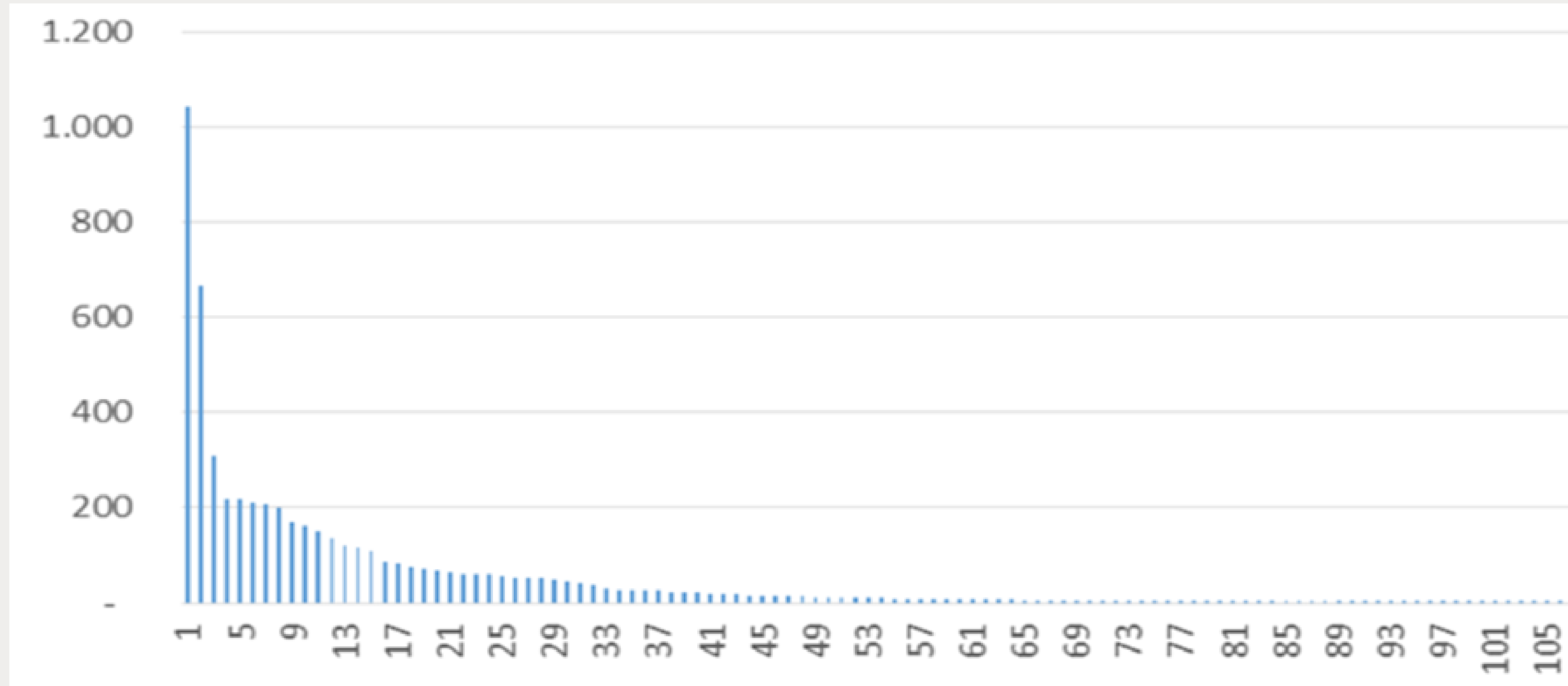
# Anteil der Orphan Drug Ausgaben der gesetzlichen Krankenkassen in Deutschland 2017



Quelle: vfa. Die forschenden Pharma-Unternehmen Deutschland

[PHARMIG Factsheet Innovative Therapien von seltenen Erkrankungen bringen einen hohen Mehrwert](#)

# 50% der OD in der EU haben eine Jahresumsatz kleiner 10 Mio €



Quelle: [Study to support the evaluation of the EU Orphan Regulation \(Technopolis Report\) July 2019 \(Grafik 30\); IQVIA-data.](#)

[Note: within the total group of identified orphan medicines, sales data were available for 105 orphan medicines](#)

# Mythos vs. Fakt V

## Mythos:

Patentschutz  
für Pharma ist  
unfair und  
dient nur dem  
Profit.

## Fakt:

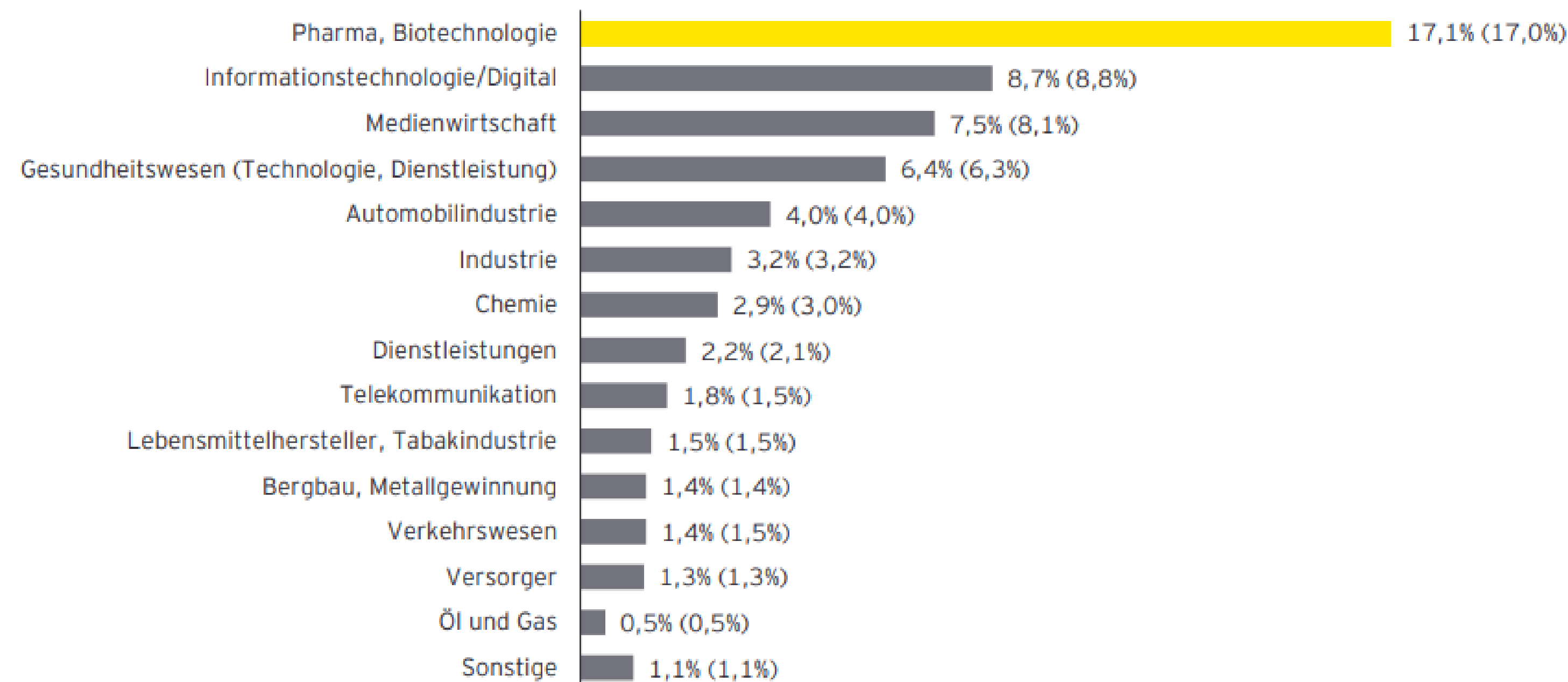
Hohes Risiko, hohe  
Entwicklungskosten.

Patentschutz sichert  
weiteres Forschungs-  
Investment.

# Pharma als Innovationsmotor

Durchschnittlicher Anteil der F&E-Ausgaben am Umsatz im Geschäftsjahr 2018

Durchschnittliche F&E-Intensität; Vorjahreswerte in Klammern



Quelle: [EY: Top 500 F&E: Wer investiert am meisten in Innovationen?](#)

# Fazit: Wo müssen wir ansetzen?

## Regulatorisch

- **Offenes Mindset** für Seltene Krankheiten
- **Regulatorisches Umfeld verbessern**
- **Stolz und Selbstvertrauen** auf Entwicklungen aus Österreich
- **Europäische Vernetzung** und Mitgestaltung

## Erstattung

- **Einheitliche Regelungen und bessere Planbarkeit** für den Marktzugang in Europa

## Forschungs- förderung

- **Förderung von Weiterentwicklungen**
- Die **Rolle des Sponsors** gibt keinerlei Auskunft über die Forschungsleistung
- **Auftragsforschung** ist besser zu definieren

# Die Zukunft

## Wie kommt Innovation zu den Patient\*innen?



# Wie kommt Innovation zu den Patient\*innen?

- Es braucht mehr **mutige** Partnerschaften
- Mythen müssen wir gemeinsam entkräften
- Den Patient\*innen zuhören und etwas **unternehmen**
- **Europäisches Regulatorisches Umfeld** verbessern
- Stolz und **Selbstvertrauen**
- Gute **Vernetzung der Partner** und ein besseres Verständnis für einander ist essentiell
- Fokus auf **ganzheitliche Therapien** – nicht nur Medikamente

**Wir wollen allen Perspektiven Raum geben,  
damit richtige Entscheidungen getroffen  
werden.**

Eine Initiative des PHARMIG  
Standing Committee Rare Diseases



# 10. RARE DISEASES DIALOG

Mit freundlicher Unterstützung  
unserer **Hauptsponsoren**



# Disclaimer

Bei den gegenständlichen Folien handelt es sich um das geistige Eigentum Mag. Andreas Steiner (AOP Orphan International AG). Jegliche Haftung der Pharmig Academy für die Richtigkeit, Vollständigkeit und Aktualität des Inhalts ist ausgeschlossen.

Jegliche sonstige Nutzung und Veröffentlichung, insbesondere jegliche Vervielfältigung oder Verbreitung ist nur nach ausdrücklicher Zustimmung von Mag. Andreas Steiner (AOP Orphan International AG ) erlaubt.