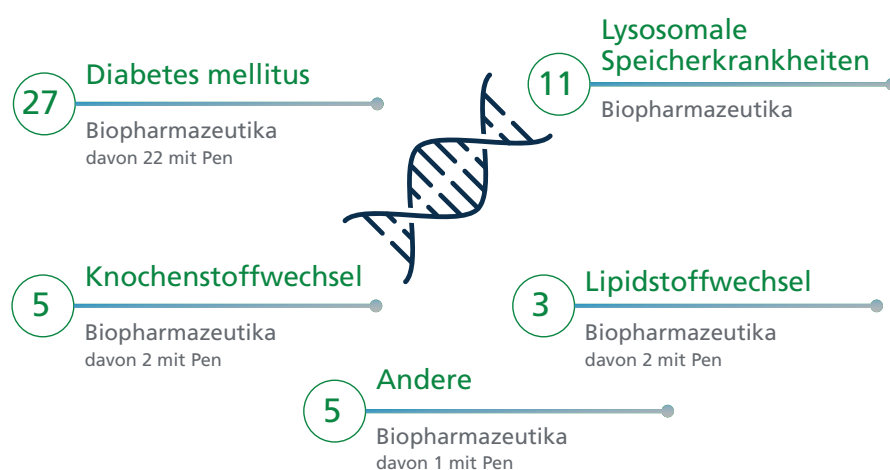


# Medizinische Biotechnologie in Deutschland als Innovationsmotor

## Nutzen von Biopharmazeutika für Patienten mit Stoffwechselerkrankungen

Biopharmazeutika spielen eine große Rolle bei der Therapie von Stoffwechselerkrankungen, von denen mehrere zu Volkskrankheiten wie Diabetes, Hypercholesterinämie, Osteoporose, Gicht oder Adipositas zählen. Viele andere wie die lysosomalen Speicherkrankheiten treten dagegen selten auf. Insgesamt waren bis Ende 2017 51 Biopharmazeutika gegen Stoffwechselerkrankungen zugelassen. **Von Dr. Sabine Sydow und Dr. Frank Mathias**

Abb. 1: 51 Biopharmazeutika gegen Stoffwechselerkrankungen



Quelle: Deutscher Gesundheitsbericht Diabetes 2017 der Deutschen Diabetes Gesellschaft; „Medizinische Biotechnologie in Deutschland 2018“, vfa bio/BCG

**E**in Langzeitvergleich ausgewählter Wirtschaftsdaten macht die wachsende Bedeutung der Biopharmazeutika für die Patienten und den Standort Deutschland deutlich<sup>1</sup>:

- ◆ 2005 waren insgesamt 155 Biopharmazeutika in der EU zugelassen – 2017 mit 274 annähernd doppelt so viele.
- ◆ Die Biopharmazeutika-Pipeline hat sich von 256 im Jahr 2005 auf 639 im Jahr 2017 sogar weit mehr als verdoppelt.
- ◆ Die Umsätze mit Biopharmazeutika in Deutschland haben sich von 2005 bis

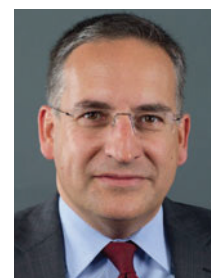
2017 von 2,6 Mrd. EUR auf 10,2 Mrd. EUR fast vervierfacht, während sich der Anteil der Biopharmazeutika am Gesamtmarkt von 12% auf 26% mehr als verdoppelt hat.

- ◆ Die Zahl der Beschäftigten in der biopharmazeutischen Industrie in Deutschland ist von 26.420 (2005) auf mehr als 47.000 (2017) gewachsen.

### Nutzen von Biopharmazeutika für Patienten mit Stoffwechselerkrankungen

Biopharmazeutika zur Behandlung von Stoffwechselerkrankungen stehen bei den Umsätzen mit 1,85 Mrd. EUR auf Platz drei (hinter immunologischen Erkrankungen

mit 3,21 Mrd. EUR auf Platz eins und onkologischen Erkrankungen mit 2,55 Mrd. EUR auf Platz zwei). Stoffwechselerkrankungen liegen Störungen eines oder mehrerer Stoffwechselwege zugrunde; sie sind bezüglich ihrer Symptome und des Verlaufs sehr vielfältig und können den Kohlenhydrat-, Lipid-, Protein- oder Knochenstoffwechsel betreffen. Aufgrund der zentralen Aufgaben des Stoffwechsels können Stoffwechselkrankheiten mitunter sehr schwerwiegende Folgen für die betroffenen Patienten haben.



Fotos: © vfa/D. Laessig

#### ZU DEN AUTOREN

**Dr. Sabine Sydow** ist Leiterin von **vfa bio**, der Interessengruppe Biotechnologie im Verband der forschenden Pharma-Unternehmen (vfa) in Deutschland. Sydow studierte Biologie und war zuvor bei der Schering AG in verschiedenen Positionen tätig.

**Dr. Frank Mathias** ist Vorstandsvorsitzender der **Rentschler Biopharma SE** und Vorsitzender von vfa bio. Mathias studierte Pharmazie an der Universität Paris und war zuvor CEO der Medigene AG und Geschäftsführer der Amgen GmbH.

1) „Medizinische Biotechnologie in Deutschland 2018“, The Boston Consulting Group und vfa bio; [www.vfa-bio.de/bcg2018.pdf](http://www.vfa-bio.de/bcg2018.pdf).

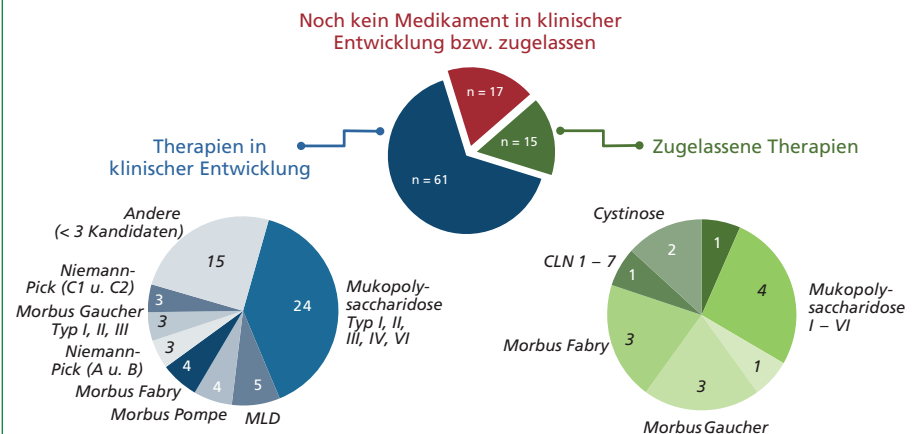
Volkskrankheiten wie Diabetes, Hypercholesterinämie, Osteoporose, Gicht oder Adipositas zählen ebenso zu den Stoffwechselerkrankungen wie die selten auftretenden lysosomalen Speicherkrankheiten. Insgesamt waren bis Ende 2017 51 Biopharmazeutika gegen Stoffwechselerkrankungen zugelassen (Abb. 1), wobei der Schwerpunkt auf Diabetes (27 Zulassungen) und lysosomalen Speicherkrankheiten (11 Zulassungen) lag.

Diabetes ist eines der größten medizinischen Probleme Deutschlands. Rund 7 Mio. Deutsche leiden an Typ-2-Diabetes – Tendenz steigend. Das führt hierzulande zu immensen Kosten, die sich schon heute auf jährlich 35 Mrd. EUR aufsummieren, davon sind jedoch lediglich rund 20% Kosten für die eigentliche Diabetesbehandlung (Abb. 2). Die übrigen Kosten entfallen auf Folgeerkrankungen, Frühverrentungen sowie Produktivitätsverluste. Das Risiko der Folgeerkrankungen ist umso geringer, je besser die Patienten ihren Blutzuckerspiegel medikamentös korrigieren können. Biopharmazeutika leisten hierbei einen wichtigen Beitrag.

### Seltene Stoffwechselerkrankungen

Viele angeborene Stoffwechselstörungen zählen zu den seltenen Erkrankungen. In der EU gilt eine Erkrankung als selten, wenn davon nicht mehr als fünf von 10.000 Personen betroffen sind. Bei den lysosomalen Speicherkrankheiten (LSK) kommt es zu einer Anhäufung von Stoffwechselprodukten im Körper, da die abbauenden Enzyme aufgrund von Gendefekten nicht

Abb. 3: Entwicklung von Therapien gegen lysosomale Speicherkrankheiten



1. Biopharmazeutika und chemisch-synthetische Arzneimittel; Anmerkung: MLD = Metachromatische Leukodystrophie; CLN 1-7 = Ceroidale Lipofuszinose Typ 1 bis 7  
 Quelle: European Union, Europäische Kommission: Register Orphan Medicinal Products, Stand 20.03.2018, <http://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/orphreg.htm#>; „Medizinische Biotechnologie in Deutschland 2018“, vfa bio/BCG

oder nicht ausreichend gebildet werden können. Es gibt ca. 45 verschiedene LSK; die jährliche Neuerkrankungsrate bei allen LSK liegt bei ca. eins zu 7.500, wobei die Einzelinzidenzen sehr stark variieren können. Die Zahl der an einer LSK Erkrankten bewegt sich zwischen einigen Hundert und wenigen Zehntausend in der gesamten EU.

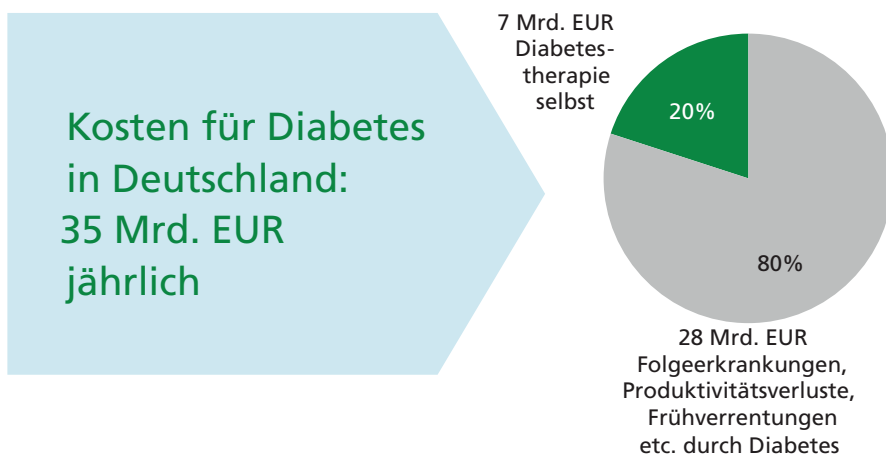
Für etliche lysosomale Speicherkrankheiten sind inzwischen Medikamente (Biopharmazeutika und chemisch-synthetische Moleküle) bereits zugelassen oder in der klinischen Entwicklung (Abb. 3). Ein großer therapeutischer Durchbruch gelang mit der Einführung der Enzym-

ersatztherapie durch Biopharmazeutika. Dabei wird das fehlende/fehlerhafte Enzym mittels Infusion durch ein gentechnisch hergestelltes funktionstüchtiges Enzym ersetzt. Durch die regelmäßige Gabe des Enzyms wird eine Verbesserung der körperlichen Symptome erreicht und so die Funktion der Organe stabilisiert oder sogar verbessert.

### Den Innovationszyklus fördern

Wenn Deutschland im Vergleich zu anderen Ländern nicht zurückstehen und im Gegenteil künftig sogar mehr Anteil an der Wertschöpfung haben möchte – also an Forschung, Entwicklung und Produktion von Biopharmazeutika –, dann sind wir hierzulande gut beraten, den zugrunde liegenden Innovationszyklus nachhaltig zu unterstützen. Dazu gehört, das Gesundheitssystem innovationsoffen zu gestalten und endlich eine steuerliche Forschungsförderung einzuführen, wie es fast alle Wettbewerberländer erfolgreich getan haben. Außerdem muss dringend für kleine und mittlere Unternehmen mehr Innovationskapital mobilisiert werden. Die erforderliche therapeutische Vielfalt als Grundvoraussetzung für eine bedarfsgerechte Versorgung sowie die qualitätsgesicherte Biopharmazeutika-Anwendung unter Wahrung der Therapiefreiheit des Arztes und Einbeziehung des Patienten runden den Innovationskreislauf weiter ab. Zum Nutzen für die Patienten, für die Gesellschaft und für den Standort Deutschland! ■

Abb. 2: Folgeerkrankungen treiben Kosten für Diabetes



Quelle: Deutscher Gesundheitsbericht Diabetes 2017 der Deutschen Diabetes Gesellschaft; „Medizinische Biotechnologie in Deutschland 2018“, vfa bio/BCG