

Orphan Drugs erfolgreich launchen

Welche Kommunikationsmaßnahmen einen Markteintritt unterstützen

Was macht die Kommunikation zu einem Orphan Drug im Vergleich zu Arzneimitteln für die Behandlung „breiterer“ Indikationen eigentlich so besonders? Diese Frage stellt sich angesichts von mittlerweile nach VFA-Angaben mehr als 70 in der EU zugelassenen Medikamenten für sogenannte „Seltene Erkrankungen“ immer häufiger. Sind Orphan Drugs heute automatisch Erfolgsprodukte oder haben sie für einen erfolgreichen Launch auch noch besondere kommunikative Herausforderungen zu meistern? Warum PR gerade beim Launch dieser Arzneimittel eigentlich alternativlos ist, erläutern Christian Look, Geschäftsführer von BioMarin Deutschland und Dr. Guido Schopen, Geschäftsführer von PTC Therapeutics Germany, im Interview.

Mit „seltene Krankheiten“ werden schwerwiegende Erkrankungen definiert, an denen nicht mehr als einer von 2.000 EU-Bürgern leidet. Mehr als die Hälfte der hier zugelassenen Orphan Drugs sind sogar „Ultra Orphans“, das heißt, dass von der Erkrankung EU-weit weniger als einer von 50.000 Bürgern betroffen ist. 15 Arzneimittel zur Behandlung von seltenen Krankheiten hat die Europäische

Arzneimittel-Agentur EMA im letzten Jahr zur Zulassung empfohlen – so viele wie nie zuvor. Im Jahr 2013 waren es sieben.

Beginnt also eine neue Ära für Orphan Drugs, wie Kritiker mit Verdacht auf neue Vermarktungsstrategien der Pharmaindustrie behaupten? Immerhin gilt bei den „Waisenkindern“ unter den Medikamenten – so die deutsche Übersetzung – der durch das neue AMNOG-Verfahren geforderte Nachweis eines medizinischen Zusatznutzens bereits durch die Zulassung als belegt. **Dennoch müssen sich auch Orphan Drugs wie andere neue Arzneimittel aufwändigen und teuren Prüfverfahren unterziehen, um das Ausmaß des Zusatznutzens bestimmen zu lassen.**

Ein Blick auf die Fakten und die Historie offenbart jedoch ein anderes Bild. Zum einen sind seltene Erkrankungen gar nicht so selten – wenn man sie addiert. Orphanet, ein von europäischen Institutionen gefördertes Register für seltene Erkrankungen, spricht von knapp 4,3 Millionen Betroffenen allein in Deutschland und etwa 30 Millionen in der EU.

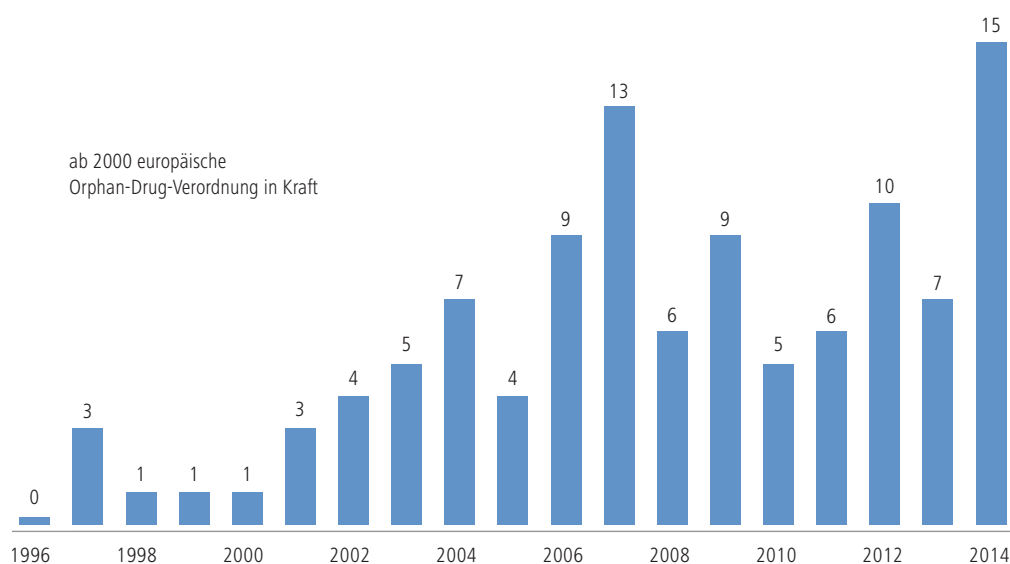
Zum anderen gibt es heute durch veränderte Zulassungs- und Vermarktungsbedingungen eine gezielte Förderung der Erforschung seltener Erkrankungen. Ausgangspunkt war offenbar eine in den USA bereits vor mehr als 30 Jahren entstandene öffentliche Debatte. Wie Prof. Dr. Bertram Häussler und Dr. Klaus-Jürgen Preuß in ihrem Buch SELTENE HELDEN – ORPHAN DRUGS IN DEUTSCHLAND berichten, verursachte die Darstellung eines Patienten mit Tourette-Syndrom in der amerikanischen TV-Serie Quincy eine so enorme Aufmerksamkeit, dass es 1983 nach einer Anhörung im Kongress zur Orphan Drug-Gesetzgebung in den USA kam. Diese setzte durch exklusivere Vermarktungsrechte erstmals Anreize für Investitionen in Arzneimittel gegen seltene Erkrankungen. Seither wurden in den USA über 350 Orphan Drugs mit mehr als 250 unterschiedlichen Wirkprinzipien gegen mehr als 200 seltene Erkrankungen auf den Markt gebracht. In Europa kam es erst im Jahr 2000 zu einer entsprechenden Gesetzgebung, so Häussler und Preuß weiter.

Die Politik bestellt also und die Pharmaindustrie liefert? So könnte man die unten abgebildete VFA-Grafik auch interpretieren, zeigt sie doch eine erhebliche Zunahme der Orphan Drug-Zulassun-

gen nach 2000 auch in Deutschland. Und der Trend scheint ungebrochen. Mit Status November 2014 werden nach VFA-Angaben noch rund 1.250 weitere Arzneimitteltherapien erprobt, die ebenfalls den Orphan Drug-Status, aber noch keine Zulassung erhalten haben.

Doch ist ein Orphan Drug damit automatisch ein Erfolgsprodukt? Wird es vom Tag der Ausbietung an quasi automatisch den Patienten verordnet, die ohne das neue Medikament vielleicht sogar schon bald sterben müssten? Schließlich handelt es sich in der Regel um erstmalige Therapieoptionen mit oftmals kausalem Wirkansatz in einem Markt mit „highly unmet needs“. Und die meist hohen, manchmal sehr hohen Therapiekosten von jährlich 100.000 bis fast eine Million Euro wecken Phantasien. Dass man bei genauerer Betrachtung des hier skizzierten Spannungsfeldes schnell wieder auf den Boden der Tatsachen zurückkommt, zeigen die Einschätzungen von Christian Look, Geschäftsführer BioMarin Deutschland, und Dr. Guido Schopen, Geschäftsführer der PTC Therapeutics Germany. Beide stellen ihre aktuellen Erfahrungen im erfolgreichen Launch eines Ultra Orphan Drugs in Deutschland im folgenden Interview dar.

Zulassungen für Medikamente mit Orphan-Drug-Status¹ in der Europäischen Union seit 1996



¹ bzw. vor 2000: Medikamente, die für den Status qualifiziert gewesen wären

Quelle: vfa



© BioMarin

Christian Look ist Geschäftsführer von BioMarin Deutschland GmbH, Frankfurt, und verantwortet zusätzlich als Area Director den Arzneimittelvertrieb und -verkauf in Österreich, Polen und den Baltischen Staaten.

Vimizim® (Wirkstoff: Elosulfase alfa) ist die erste kausale Therapieoption zur Behandlung des Morquio A Syndroms. In Deutschland wird von ca. 60 Fällen ausgegangen.

Wo sehen Sie die größten Unterschiede beim Launch eines Orphan Drug im Vergleich zu Arzneimitteln für breitere Indikationen?

Look: Aus meiner Sicht liegt der Hauptunterschied darin, dass Orphan Drugs-Firmen erst einmal die zu behandelnde Krankheit selbst vorstellen und bekannt machen müssen. Dem Arzt muss klargestellt werden, welcher seiner Patienten betroffen sein könnte, was man diagnostisch und dann auch therapeutisch tun könnte. Es geht weniger um die Eigenschaften des Medikamentes in Abgrenzung zu Bestandspräparaten, Mitbewerbern oder statistisch leicht verbesserten Parametern.

Schopen: Ganz pauschal kann man erst einmal sagen, dass Teile des klassischen Marketing-Mixes wie Werbung und Detailing bei Orphan Drugs nur eine untergeordnete Rolle spielen. Wichtiger sind vielmehr Public Awareness, Medical Education und „tailored services“. Insgesamt ist die Kommunikation direkter und aufgrund der Schwere der zugrunde liegenden Erkrankungen, die oftmals Kinder betreffen, auch sehr viel emotionaler. Patienten sind unmittelbarer involviert, Patientenorganisationen spielen



© PTC Therapeutics

Dr. med. Guido Schopen ist Geschäftsführer der PTC Therapeutics Germany GmbH, Frankfurt, und General Manager der D-A-CH-Region.

Translarna™ (Wirkstoff: Ataluren) greift kausal in die Ursache von Duchenne-Muskeldystrophien mit Nonsense-Mutation ein. In Deutschland wird von rund 250 DMD-Patienten mit Nonsense Mutation ausgegangen.

eine entscheidende Rolle, in der Kommunikation insgesamt bis hin zur Information ihrer Mitglieder zum Beispiel in Form von Patient Education Programmen. Aufklärungs- und Lobbyingarbeit, um die Rechte einer Minderheit zu verbalisieren, kommen ebenfalls eine höhere Bedeutung zu. Da es weniger Market Insights gibt, muss man mit sehr viel mehr „uncertainty“ umgehen und manches ist „learning by doing“. Im Hinblick auf die „Price-Value“-Diskussion: Klassische Cost-Effectiveness-Modelle funktionieren oft aufgrund der relativ geringen Patientenzahlen in klinischen Studien nicht – somit sieht man vordergründig oft nur den Preis. Schnell wird dabei der vergleichsweise geringe Budget-Impact auf die Kostenträger im Vergleich zu Präparaten mit Massenindikationen übersehen. Auch tritt bei der Gesamtbetrachtung der hohe „medical value“ für einzelne Patienten (die zuvor oft keinerlei therapeutische Option hatten) tendenziell in den Hintergrund. Last but not least: Bei der Diskussion um Preis und Kosten muss immer wieder darauf hingewiesen werden, welches hohe Entwicklungsrisiko und welche Kosten die Unternehmen im Bereich Orphan Drugs in Kauf nehmen, um Innovationen für vergleichsweise wenige Patienten anbieten zu können.



54 Veröffentlichungen über Duchenne-Muskeldystrophie mit Nonsense-Mutation in nur fünf Monaten erzeugten einen hohen Noise Level

Welche kommunikativen Herausforderungen waren mit der Einführung von Vimizim® bzw. Translarna™ in Deutschland verbunden?

Look: Also Herausforderungen würde ich es jetzt gar nicht nennen. Das klingt immer so, als ob es Schwierigkeiten gegeben hätte. Wir haben von Anfang an auf ein klassisches PR-Konzept mit zugegebenermaßen überschaubaren Ressourcen gesetzt und sehr zielgerichtet – je nach Launch-Status – mit Fachgruppen wie Apothekern, Pädiatern und deren peripherem Umfeld kommuniziert. Mit mehreren zeitlich gestaffelten Maßnahmen und über einen Mix an Kommunikationsinstrumenten haben wir sowohl Breite als auch Frequenz realisieren können. Dies alles, um das Krankheitsbild möglichst fest zu verankern. Die Ärzte müssen ja eigentlich nur wissen: „Diese kleinen Patienten, die so und so aussehen, da gibt es jetzt was“. Aus finanzieller Sicht hatten wir mit der für Vimizim® sehr klar umrissenen Hauptzielgruppe Pädiater sicherlich Glück. Bei einer internistischen

Zielgruppe hätten wir sehr viel breiter und mit einem höheren Mitteleinsatz arbeiten müssen.

Schopen: Weil etablierte Kanäle fehlen, mit denen die Zielgruppe ohne Streuverluste erreicht werden kann, ging es auch bei Translarna™ erst einmal darum, Experten-Zentren sowie weit verstreute Second-Line-Zentren zu identifizieren, in denen sich immerhin noch mehr als 50 Prozent der zu behandelnden Patienten befinden konnten. Eine der größten Herausforderungen besteht auch immer noch darin, Wahrnehmung zu erzielen. Seltene Erkrankungen genießen in der klinischen Routine und bei Nicht-Spezialisten, die aber entscheidend für die initiale Diagnostik und damit für die Patientenidentifikation sind, mitunter wenig Aufmerksamkeit. Mangelnde Ressourcen können die Gesamtsituation erschweren. Weitere Herausforderungen bestehen dann darin, Patientenzuweisung zu den Experten-Zentren zu organisieren sowie Patienten im Einklang mit Compliance-Guidelines und dem Heilmittelwerbegesetz zu erreichen.

Inwiefern kann PR zur Bewältigung dieser Herausforderungen beitragen?

Look: Ohne PR ist aus meiner Sicht – jedenfalls im Pharmabereich – ein Einführungs-Kommunikationskonzept nicht komplett. Bei Anzeigen sehe ich hohe Streuverluste im doppelten Sinne: Man hat eine kleine Zielgruppe, und die hat auch noch ganz wenige Patienten. Die Wahrscheinlichkeit, dass ein Arzt mit dem Informationsgehalt einer Anzeige etwas anfangen kann, ist deshalb gering. Da ist PR von der Hebelwirkung effektiver. Bei Orphan Drugs sind ja auch die Kommunikationsinhalte für viele Maßnahmen zu komplex. Meine Empfehlungen gehen deshalb in Richtung PR, Publikationen – soweit das möglich ist – und Kongressarbeit.

Schopen: Für PR – und wir reden im Zusammenhang mit Translarna™ über PR zu medizinischen Fachkreisen – sprechen die Effizienz im Sinne einer breiten Coverage, Schnelligkeit in der Umsetzung und die erzielbaren Multiplikationseffekte. Nicht zu vergessen: Kommunikation durch 3rd Parties ist glaubhafter.

Welche Alternativen sehen Sie zum Einsatz von PR?

Look: Es gibt in diesem Kommunikationsmix keine Alternative, sondern nur ergänzende Maßnahmen. Man kann zum Beispiel ein Kongresssymposium machen, aber ohne begleitende Maßnahmen und PR-Unterstützung, Interviews mit Referenten, Symposiumsberichte etc. fehlen die Multiplikationseffekte. Daher sehe ich eher synergistische Wirkungen als Alternativen. In dem Sinne können Sie sogar sagen, dass PR eigentlich alternativlos ist.

Schopen: Gerade in einer frühen Phase der Ausbietung und bei nur bedingten Market Insights scheint PR die schnellste und effizienteste Möglichkeit, breitere Zielgruppen mit vertiefenden Informationen zu erreichen.

Der Launch von Vimizim® und Translarna™ fand erst vor sieben bzw. zwei Monaten statt. Können Sie schon Erfolge nennen?

Look: Wir sind auf einem guten Weg, was die Bekanntheit der Erkrankung Morquio A im pädiatrischen Fachbereich angeht. Die Erkenntnis zur Notwendigkeit der frühen Diagnose und Behandlung ist ebenfalls erfreulich gewachsen. Unser Außendienst nutzt sehr häufig die Sonderdrucke einer Publikation in der KINDERÄRZTLICHEN PRAXIS, um die Fachkreise über das Krankheitsbild und die neue Behand-

lungsoption zu informieren. Die von uns durchgeführten Maßnahmen sind innerhalb unserer Europa-Organisation sehr positiv und als professionelle Teamleistung wahrgenommen worden. Auch deshalb kommt man an PR ehrlich gesagt nicht vorbei. Sie hat eine sehr gute Hebelwirkung und ist kosteneffektiv. Da kann eine Anzeige nicht mithalten.

Schopen: Der Launch von Translarna™ hat mit 54 redaktionellen Veröffentlichungen innerhalb von fünf Monaten ein sehr breites Echo in den relevanten Fachreisen erzielt. Alle führenden Duchenne Muskeldystrophie-Zentren in Deutschland sind über Translarna™ informiert. PR hat sicher dazu beigetragen, „pull“ (in Form von Anfragen und Einladungen, die neue Therapieoption an Zentren direkt vorzustellen) und „demand“ (die Business Performance ist on track) zu generieren.

(Die Fragen stellte Dorothea Küsters)

Dorothea Küsters



ist Gründerin und geschäftsführende Gesellschafterin der auf Gesundheitskommunikation spezialisierten PR-Agentur Dorothea Küsters Life Science Communications GmbH in Frankfurt. Nach Stationen bei Burson-Marsteller, Manning, Selvage

& Lee, McCann Healthcare und Ogilvy Healthcare machte sich die studierte Philologin 1993 selbstständig. Dorothea Küsters verbindet die Erfahrung aus internationalen Netzwerk-Agenturen mit dem Commitment und der Expertise der inhabergeführten, spezialisierten Healthcare-Agentur. Zu ihren Kompetenzfeldern zählen Kommunikationsprogramme sowie Public Affairs/Market Access für Orphan Drugs, Rx- und OTC-Arzneimittel, Medizintechnik, Nutrition und Cosmeceuticals.

✉ kuesters@dkcommunications.de