

# ARZNEIMITTEL ZUR THERAPIE SELTENER ERKRANKUNGEN



Als seltene Erkrankung gilt in der Europäischen Union, wenn nicht mehr als 5 von 10.000 Menschen von ihr betroffen sind. Da über 6.000 seltene Erkrankungen bekannt sind, gibt es Schätzungen zu Folge allein in Deutschland insgesamt 4 Millionen Betroffene, in der gesamten EU über 30 Millionen\*. Bis eine „rare disease“ richtig diagnostiziert wird, dauert es oft Jahre\*\*. In der Forschung und Entwicklung und damit letztlich bei der medikamentösen Behandlung der Erkrankungen hat sich in den letzten Jahren jedoch viel getan. Im Jahr 2020 lag der Anteil der „Orphan drugs“ an neu eingeführten Arzneimitteln laut Verband forschender Arzneimittelhersteller (VfA) bei über 40 %\*\*\*. IQVIA hat die aktuelle Versorgung in Klinik und Praxis anhand von Fakten aus dem Markt analysiert.

\* <https://www.bundesgesundheitsministerium.de/themen/praevention/gesundheitsgefahren/seltene-erkrankungen.html>  
 \*\* <https://www.pharma-fakten.de/grafiken/detail/1049-seltene-erkrankungen-der-lange-weg-zur-optimalen-versorgung/>  
 \*\*\* <https://www.vfa.de/de/arzneimittel-forschung/woran-wir-forschen/orphan-drugs-medikamente-gegen-selteneerkrankungen.html>

## Behandlungssektoren: prozentual höherer Umsatzanteil in der Klinik

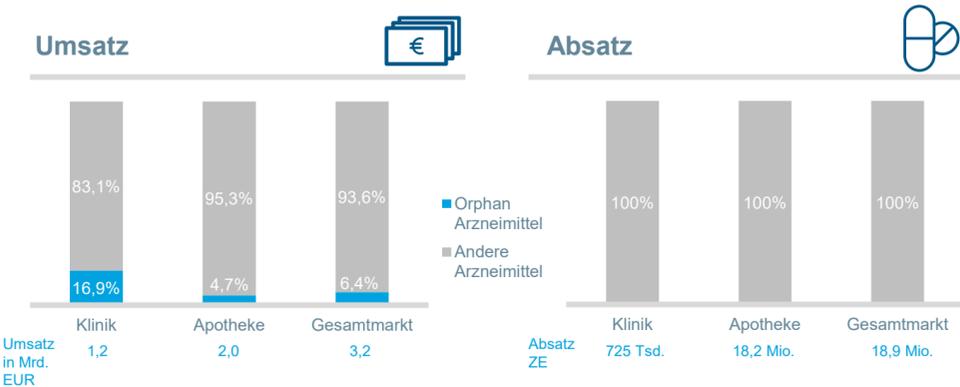


In der Klinik entfällt auf Arzneimittel zur Behandlung seltener Erkrankungen im Vergleich mit dem niedergelassenen Bereich (Apothekenmarkt) ein prozentual deutlich höherer Anteil. Das erklärt sich durch die in manchen Kliniken auf die Behandlung bestimmter seltener Erkrankungen spezialisierten Abteilungen („Zentren“). Manche seltenen Erkrankungen werden auch ausschließlich in Kliniken behandelt.

Nach dem absoluten Umsatz überwiegt der niedergelassene Bereich mit rund 2 Mrd. Umsatz und über 18 Mio. Zählleinheiten (Tabletten, Kapseln, Portionsbeutel, Injektionen etc.), wobei die Menge, gemessen an allen eingesetzten Arzneimitteln, kaum eine Rolle spielt.

### Arzneimittel für die Therapie seltener Erkrankungen: Umsatzanteil im Klinikmarkt prozentual höher als im Apothekensegment – Mengenanteil gering

Jahr 2020



Quelle: IQVIA Dataview® Arzneimittelverbrauch (AMV) Datenbank: Klinikdaten aus IQVIA DKM® (Deutscher Krankenhaus Markt), Umsatz in Euro zu bewerteten Klinikpreisen, Absatz in Zählleinheiten (ZE); IQVIA PharmaScope® National, Umsatz in Euro zum Abgabepreis des pharmazeutischen Unternehmers ((ApU=Erstattungsbetrag für AMNOG Produkte und Listenpreis für übrige Produkte) ohne Berücksichtigung von Zwangsrabatten und Einsparungen aus Rabattverträgen, Absatz in Zählleinheiten, Berücksichtigung von Zubereitungen ab Jahr 2009, inkl. Impfstoffe und Diagnostika

## Jahresvergleich: Schwankende Anteile von „Orphan Drugs“

Zwischen 2018 und 2020 fallen die Marktanteile von Medikamenten zur Behandlung seltener Erkrankungen unterschiedlich aus. Dies korrespondiert mit dem Anteil der „Orphans“ an neu eingeführten Arzneien mit neuen Wirkstoffen. Laut VfA lag dieser in 2018 bei 44 %, in 2019 bei 20 % und in 2020 bei 41 %.

Zu berücksichtigen ist bei der Einordnung der Marktentwicklung, dass Arzneien ihren Orphan-Status verlieren, sobald sie die Umsatzschwelle von jährlich 50 Mio. Euro brutto überschreiten.

### Arzneimittel für die Therapie seltener Erkrankungen: Schwankende jährliche Marktanteile

Jahre 2018 bis 2020



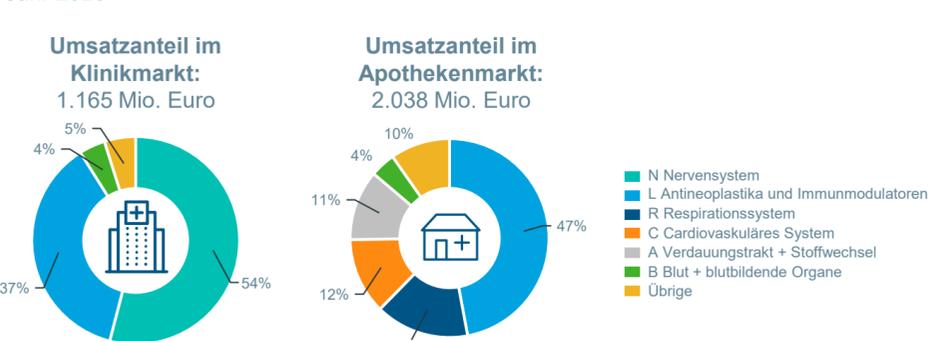
Quelle: IQVIA Dataview® Arzneimittelverbrauch (AMV) Datenbank: Klinikdaten aus IQVIA DKM® (Deutscher Krankenhaus Markt), Umsatz in Euro zu bewerteten Klinikpreisen, Absatz in Zählleinheiten (ZE); IQVIA PharmaScope® National, Umsatz in Euro zum Abgabepreis des pharmazeutischen Unternehmers ((ApU=Erstattungsbetrag für AMNOG Produkte und Listenpreis für übrige Produkte) ohne Berücksichtigung von Zwangsrabatten und Einsparungen aus Rabattverträgen, Absatz in Zählleinheiten, Berücksichtigung von Zubereitungen ab Jahr 2009, inkl. Impfstoffe und Diagnostika

## Unterschiedliche Behandlungsschwerpunkte in Klinik und Praxis

Die zur Behandlung seltener Erkrankungen eingesetzten Arzneimittel zeigen in Klinik und Praxis deutliche Unterschiede nach den Einsatzgebieten auf. In der Klinik dominieren mit über der Hälfte des Umsatzes Medikamente zur Behandlung von Erkrankungen des Nervensystems. Hierzu gehören bspw. das bei spinaler Muskelatrophie eingesetzte Präparat Spinraza oder Zolgensma zur Anwendung bei Kindern in dieser Indikation. Im Apothekenmarkt dominieren Präparate zur Anwendung bei Krebserkrankungen wie z. B. Imbruvica (chronische lymphatische Leukämie) oder Darzalex (Multiples Myelom).

### Unterschiedliche Behandlungsschwerpunkte in Klinik und Praxis

Jahr 2020



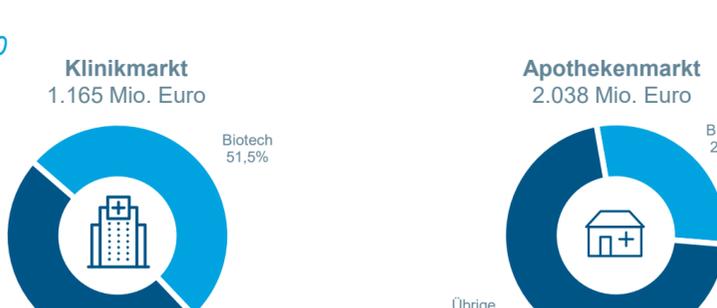
Quelle: IQVIA Dataview® Arzneimittelverbrauch (AMV) Datenbank: Klinikdaten aus IQVIA DKM® (Deutscher Krankenhaus Markt), Umsatz in Euro zu bewerteten Klinikpreisen, Absatz in Zählleinheiten (ZE); IQVIA PharmaScope® National, Umsatz in Euro zum Abgabepreis des pharmazeutischen Unternehmers ((ApU=Erstattungsbetrag für AMNOG Produkte und Listenpreis für übrige Produkte) ohne Berücksichtigung von Zwangsrabatten und Einsparungen aus Rabattverträgen, Absatz in Zählleinheiten, Berücksichtigung von Zubereitungen ab Jahr 2009, inkl. Impfstoffe und Diagnostika

## Über die Hälfte des Klinikumsatzes für „Orphans“ als Biotech-Präparate

Etwa 80 % der seltenen Erkrankungen gelten als genetisch bedingt und Forschung und Entwicklung arbeiten immer mehr an Gentherapien. Vor diesem Hintergrund überrascht nicht, dass bereits mehr als die Hälfte des Umsatzes von in der Klinik eingesetzten Produkten auf Biopharmazeutika entfällt.

### Arzneimittel für die Therapie seltener Erkrankungen: Biotech-Anteil in Klinik und Praxis

Jahr 2020



Quelle: IQVIA Dataview® Arzneimittelverbrauch (AMV) Datenbank: Klinikdaten aus IQVIA DKM® (Deutscher Krankenhaus Markt), Umsatz in Euro zu bewerteten Klinikpreisen, Absatz in Zählleinheiten (ZE); IQVIA PharmaScope® National, Umsatz in Euro zum Abgabepreis des pharmazeutischen Unternehmers ((ApU=Erstattungsbetrag für AMNOG Produkte und Listenpreis für übrige Produkte) ohne Berücksichtigung von Zwangsrabatten und Einsparungen aus Rabattverträgen, Absatz in Zählleinheiten, Berücksichtigung von Zubereitungen ab Jahr 2009, inkl. Impfstoffe und Diagnostika