



# Drug-Future- Report

Pressekonferenz am  
27. Februar 2019 in Berlin

# Hämophilie



- ca. 4.000 Hämophilie-Patienten mit Dauer-medikation
- Dauer der Gabe bis zu einer Stunde pro Tag, aber einfacherer Therapiekonzepte stehen vor der Zulassung

2 | Drug-Future-Report, Berlin, 27.02.2019

„ ... die Bluterkrankheit ist immer noch extrem belastend.“

Dr. Karl-Heinz Beck, Drug-Future-Report, S. 43

Handelsblatt

BIOTECH-FIRMEN TREIBEN GENTHERAPIE VORAN

Neue Hoffnung für Bluter-Kranke

Deutschlandfunk

Gentherapie für Bluter

Heilung in Sicht?

aerzteblatt.de

Medizin

Hämophilie: Gentherapie erstmals wirksam

Freitag, 8. Dezember 2017



# Gentherapien: große Hoffnung, aber viele Fragen

## Patienten

Wie bekomme ich die Therapie?  
 Wie langt wirkt sie?  
 Ist sie sicher?  
 Was kostet das?



## Industrie

Wie bekommt der Patient die Therapie?  
 Ambulant oder stationär?  
 NUB?  
 Was können wir verdienen?

## Kostenträger

Für welche Patienten ist die Therapie geeignet?  
 Wie langt wirkt sie?  
 Ist sie sicher?  
 Was kostet sie?



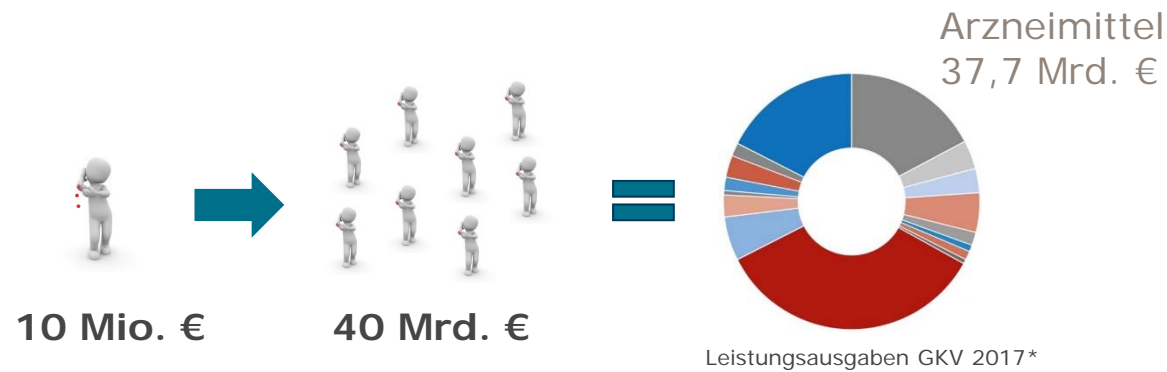
**Zu welchem Preis?**

Tabelle 2: Zulassungsstudien in Europa zugelassener ATMP-Präparate\*

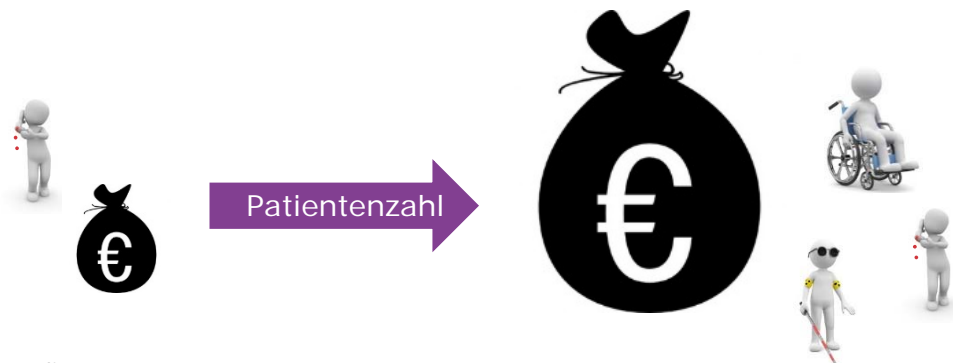
Präparat	Studien-Design Zulassungsstudie	Anzahl eingeschlossener Patienten (N)
Holoclar®	multizentrische, nicht kontrollierte, retrospektive Fallserien-Kohortenstudie HLSTM01	N = 106
Strimvelis®	offene Phase-II-Studie AD1115611	N = 12
Zalmoxis®	offene, multizentrische, nicht kontrollierte, nicht randomisierte Phase I/II-Studie TK007 (G-BA, 2018 b)	N = 57
Alofisel®	randomisierte, doppelblinde, placebokontrollierte Parallelgruppenstudie ADMIRE-CD	N = 212
Spherox®	prospektive, offene, unkontrollierte, randomisierte multizentrische Phase-II-Studie „cod 16 HS14“	N = 75
Kymriah®	akute lymphatische Leukämie (ALL): einarmige, offene, multizentrische, Phase-II-Studie ELIANA (B2202) diffus großzelliges B-Zell-Lymphom (DLBCL): einarmige, offene, multizentrische Phase-II-Studie JULIET (C2201) (ClinicalTrials.gov, 2018)	Studie B2202: N = 92 Studie C2201: N = 165
Yescarta®	DLBCL + primär mediastinales großzelliges B-Zell-Lymphom (PMBCL): offene, einarmige, multizentrische Phase-I/II-Studie ZUMA-1 (Neelapu et al., 2017)	N = 111
Luxturna®	offene, randomisierte, kontrollierte Phase-III-Studie (Russell et al., 2017)	N = 31

\*Wenn nicht anders gekennzeichnet, wurden die in der Tabelle dargestellten Informationen den EPAR-Produktinformationen EMA-Homepage und den Internetseiten [fachinfo.de](http://fachinfo.de) und [clinicaltrials.org](http://clinicaltrials.org) entnommen.

# Lebenstherapiekosten als Preisbasis?



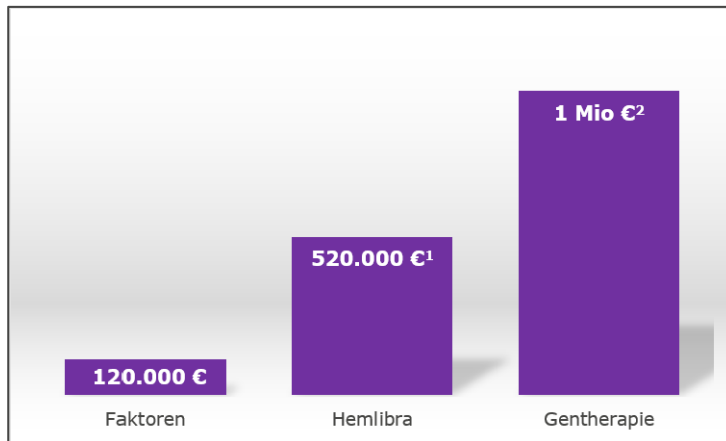
**Ziel:**  
schneller Zugang für  
die richtigen Patienten



**Das kann unser  
Gesundheitssystem  
auf Dauer nicht  
leisten!**

# Kostenentwicklung

## Arzneimittelkosten zur Bluter- Behandlung pro Patient



<sup>1</sup>IQWiG; <sup>2</sup>geschätzt



Gentherapie für die gesamte GKV:  
**4 Milliarden**

EUROPEAN MEDICINE  
SCIENCE · MEDICINE

31 January 2019  
EMA/CHMP/848842/2018  
Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP)

Summary of opinion<sup>1</sup> (post authorisation)

**Hemlibra**  
emicizumab

On 31 January 2019, the Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP) adopted a positive opinion recommending a change to the terms of the marketing authorisation for the medicinal product Hemlibra. The marketing authorisation holder for this medicinal product is Roche Registration GmbH. The CHMP adopted an extension to the existing indication as follows:<sup>2</sup>

"Hemlibra is proposed for the treatment for routine prophylaxis of bleeding episodes in patients with:

- haemophilia A (**congenital factor VIII deficiency**) with factor VIII inhibitors.
- **severe haemophilia A (congenital factor VIII deficiency, FVIII<1 %)** without FVIII inhibitors.

Hemlibra can be used in all age groups."

Detailed recommendations for the use of this product will be described in the updated summary of product characteristics (SmPC), which will be published in the revised European public assessment report (EPAR), and will be available in all official European Union languages after a decision on this change to the marketing authorisation has been granted by the European Commission.

SPARK THERAPEUTICS

## Roche steigt mit Milliarden-Zukauf in die Gentherapie ein

25. Februar 2019 , aktualisiert 25. Februar 2019, 11:38 Uhr

Roche kauft US-Biotechfirma für über vier Milliarden Dollar.  
Bild: REUTERS

**Darauf ist das System nicht vorbereitet!**

# Der dynamische Evidenzpreis

❶ Wofür gilt der Dynamische Evidenzpreis?

**Entscheidung des G-BA über Verfahren**

- AMNOG
- dynamischer Evidenzpreis

**6 Monate vor**

Z  
U  
L  
A  
S  
S  
U  
N  
G

❸ Wie kommen wir zu gerechten Preisen?

**geregelt Preisfindung**  
Algorithmus für Preisobergrenze: EU-Referenz  
Abschlag Datennutzung durch pU  
Aufschlag R & D in Deutschland/Europa

---

**Evidenzgenerierung und Datenerhebung**  
Behandlungserfolg, Folgetherapien, Endpunkte

**0 bis 24 Monate**

**Erstattungsbetrag**  
fortlaufende Evaluation der Daten und Anpassung des Erstattungsbetrag

---

**weitere Evidenzgenerierung und Datenerhebung**

**25 bis 36 Monate**

**iterativer Prozess**

❷ Wie schaffen wir mehr Sicherheit und Evidenz?

# Hätten wir den Engagement-Bonus schon heute...


WESTDEUTSCHE ZEITUNG  
NRW SPORT POLITIK MEINUNG PANORAMA WIRTSCHAFT RATGEBER SPECIALS REISE DIGITAL

NRW / Wuppertal / Was die Bayer-Hiobsbotschaft für Wuppertal bedeutet

STELLENABBAU BEI BAYER Keine Kommentare

## Was die Bayer-Hiobsbotschaft für Wuppertal bedeutet

30. November 2018 um 18:39 Uhr | Lesedauer: 3 Minuten



In Wuppertal steht das älteste Bayer-Werk. In den Neubau und das gesamte Medikamentenprojekt Faktor VIII sind gigantische Investitionen geflossen, die jetzt abgeschrieben werden. Foto: Bayer

**Falls Sie noch  
Fragen haben...**

... stehe ich Ihnen gerne zur Verfügung.

**Tim Steimle**

Techniker Krankenkasse  
Tel. 040 - 6909 1677  
tim.steimle@tk.de