

## **Rare Disease Day**

„Leben mit einer seltenen Erkrankung“

Abstract Vortrag Dr. Martin Steinhart

CEO und Leiter der Abteilung Research und Development

AOP Health



## **“Forschung im Bereich Rare Diseases“**

### **Ohne klinische Forschung keine neuen Medikamente**

Jedes Medikament, das auf den Markt kommt, hat einen langen Entwicklungsprozess hinter sich, der auch die wissenschaftliche und klinische Prüfung beinhaltet. Diese findet im Rahmen sogenannter klinischer Studien statt, in denen die Leistung, die Wirksamkeit, die Sicherheit und der klinische Nutzen untersucht werden.

### **Die vier Phasen der klinischen Forschung**

Klinischen Studien werden in vier unterschiedliche Phasen (Phase I bis IV) unterteilt.

In der ersten Phase wird die Therapie erstmals im Menschen untersucht. Ziel ist die Ermittlung der Verträglichkeit und Sicherheit des neuen Medikaments, um festzustellen, ob es überhaupt für den Einsatz am Menschen geeignet ist. Es sind meist kleine Studien mit wenigen Probanden.

In Phase II-Studien wird das Medikament zum ersten Mal an Patient\*innen überprüft, die an der Erkrankung leiden, für die die Therapie entwickelt wird. Hier geht es um die Findung der optimalen Dosierung wobei das Kollektiv der Probanden größer ist und bis zu 300 Personen umfasst.

Im Zentrum von Phase III-Studien steht die Ermittlung der Wirksamkeit und der Verträglichkeit der neuen Therapie. Meist handelt es sich um Vergleichsstudien, bei der ein Teil der Patient\*innen mit dem Medikament behandelt wird, das untersucht wird, während die Kontrollgruppe eine andere Behandlung erhält. Wird diese Phase positiv abgeschlossen, kann der Antrag auf Zulassung zur Behandlung durch die europäische bzw. nationale Behörde gestellt werden.

Die letzte Studienphase findet statt, wenn das Medikament bereits zugelassen und auf dem Markt ist. Sie dient vor allem dazu, seltene Nebenwirkungen besser zu erkennen und die Langzeitwirkweise zu beobachten.

Für gewöhnlich laufen die einzelnen Studienphasen hintereinander ab. Dennoch ist es notwendig, die Studien laufend zu evaluieren, die nächsten Schritte an eventuell gefundene Zwischenergebnisse anzupassen und flexibel auf unerwartete Entwicklungen zu reagieren. So kann es sein, dass man zu Beginn von bestimmten Darreichungsformen, Dosierungen oder Formulierungen ausgeht, die man im Laufe der Untersuchung adaptieren oder mit neuen Studien überprüfen muss.

### **Herausforderungen bei seltenen Erkrankungen**

Im Zentrum aller Studienphasen stehen die Studienpatient\*innen, die der wissenschaftlichen Frage entsprechend nach gewissen Eigenschaften ausgewählt werden. Um repräsentative Ergebnisse zu erhalten, muss das Kollektiv groß genug sein. Gerade im Bereich der seltenen Erkrankungen kann es eine Herausforderung sein, genügend Studienteilnehmer\*innen zu finden, weil es oft nur sehr wenige Betroffene gibt. Da die Anforderungen an klinische Untersuchungen bei seltenen Erkrankungen aber dieselben sind, wie bei großen Krankheitsbildern, dauert es oft länger, bis ausreichend viele Studienteilnehmer\*innen rekrutiert sind. Das verlängert die Dauer der Untersuchung und erhöht die Entwicklungskosten.

Bis ein Medikament zur Marktreife kommt und damit Betroffenen zur Verfügung steht, vergehen im Schnitt 10 Jahre, in denen mitunter bis in den Milliardenbereich investiert werden muss. Von mehreren 100 Substanz-Kandidaten, die zu Beginn untersucht werden, gelangt meist nur eine bis zur Marktreife. Für die

## Rare Disease Day

„Leben mit einer seltenen Erkrankung“

Abstract Vortrag Dr. Martin Steinhart

CEO und Leiter der Abteilung Research und Development

AOP Health



Entwicklung neuer Medikamente ist es daher wesentlich, das Potenzial einer Substanz oder eines Medikaments in einer frühen Entwicklungsphase richtig einzuschätzen, um wirtschaftlich sinnvoll agieren und das Arzneimittel schlussendlich für Patient\*innen verfügbar machen zu können.

Martin Steinhart, CEO von AOP Orphan Pharmaceuticals GmbH: „Es gibt gerade im Bereich der seltenen Erkrankungen einige Hürden, die man als forschendes Pharmaunternehmen überwinden muss, um erfolgreich Therapien zu den Patient\*innen bringen zu können. Dennoch sind wir als AOP Health weiterhin unserem Gründungsgedanken verpflichtet und setzen alles daran, auch künftig neue Therapien für seltene Erkrankungen anbieten zu können.“

### Über AOP Health

*Die AOP Health Group umfasst mehrere Unternehmen, darunter die AOP Orphan Pharmaceuticals GmbH mit Sitz in Wien, Österreich ("AOP Health"). Die AOP Health Group ist der europäische Pionier bei integrierten Therapien für Patient\*innen mit seltenen Erkrankungen sowie in der Intensivmedizin. In den letzten 25 Jahren hat sich die Gruppe zu einem etablierten Anbieter von integrierten Therapielösungen entwickelt, der von seinem Hauptsitz in Wien, seinen Tochtergesellschaften und Repräsentanzen in ganz Europa und dem Nahen Osten sowie über Partner\*innen weltweit tätig ist. Mit dem Claim „Needs. Science. Trust.“ wird die Grundlage des Erfolgs auf den Punkt gebracht: Vertrauen durch kontinuierlich hohe Investitionen in Forschung und Entwicklung und eine sehr konsequente und pragmatische Ausrichtung auf die Bedürfnisse aller Stakeholder\*innen – insbesondere der Patient\*innen und ihrer Angehörigen sowie der behandelnden Ärzt\*innen.*

### Rückfragehinweis

DI Isolde Fally

Isolde.Fally@aop-health.com

+43-676-500 4048