



BÜRO FÜR TECHNIKFOLGEN-ABSCHÄTZUNG  
BEIM DEUTSCHEN BUNDESTAG

Katrin Gerlinger

# Neue Arzneimittel gegen vernachlässigte Krankheiten

Endbericht zum TA-Projekt  
»Medikamente für Afrika«

April 2017  
Arbeitsbericht Nr. 170



Büro für Technikfolgen-Abschätzung  
beim Deutschen Bundestag (TAB)  
Neue Schönhauser Straße 10  
10178 Berlin

Tel.: +49 30 28491-0

Fax: +49 30 28491-119

[buero@tab-beim-bundestag.de](mailto:buero@tab-beim-bundestag.de)

[www.tab-beim-bundestag.de](http://www.tab-beim-bundestag.de)

2017

Umschlagbild im Uhrzeigersinn: lightwise, Feije Riemersma, Illia Uriadnikov,  
Pitiya Phinjongsakundit, Paul Smith, Tanat loungtip; alle © 123RF.com

Papier: Circle *offset* Premium White

Druck: Wienands Print + Medien GmbH, Bad Honnef

ISSN-Print 2364-2599

ISSN-Internet 2364-2602

---

## Inhalt

1. Einführung	2
2. Welche Krankheiten, welcher Forschungs- und Finanzbedarf?	3
3. Fallbeispiel Malaria	4
4. Das medizinisch-technische Innovationssystem – Ablauf und Öffnung der Verfahren	6
4.1 Ablauf	6
4.2 Öffnung von Forschungsinfrastrukturen und kooperative Nutzung (Open Innovation)	9
5. Marktwirtschaftliche Finanzierungsmechanismen und vernachlässigte Krankheiten	10
6. Geistiger Eigentumsschutz – die internationale Situation	12
6.1 Die Situation bis in die 1990er Jahre	13
6.2 Die Situation seit der Jahrtausendwende	14
7. Staatliche Maßnahmen zur Stärkung der Forschung und Entwicklung	15
8. Initiativen zum sozialverträglichen Produktzugang	17
9. Standort Deutschland: Akteure, Forschungsfelder, Stärken	18
10. Handlungsfelder	20
10.1 Forschungspolitik	20
10.2 Verzahnung mit Aufgabenbereichen der Entwicklungszusammenarbeit	21
10.3 Verzahnung mit wirtschafts- und innovationspolitischen Maßnahmen	22
10.4 Internationale gesundheitspolitische und verfahrenstechnische Aufgabenfelder	22
10.5 Ressortspezifische Maßnahmen zu einer Gesamt- strategie der Bundesregierung zusammenführen und finanziell stärken	24



Etliche Krankheiten, die in hochentwickelten Ländern kaum auftreten oder die dort meist gut behandelt werden können, führen in Entwicklungsländern nach wie vor zu erheblichen gesundheitlichen Einschränkungen. Die Ursachen sind vielfältig. Neben unzureichender medizinischer Versorgung und anderen Bedingungen vor Ort, die spezifische Produkthanforderungen mit sich bringen, werden auch die Strukturen des kommerzialisierten pharmakologischen Innovationssystems der Industrieländer und des internationalen Arzneimittelmarktes dafür verantwortlich gemacht. Diese führen in Entwicklungsländern zu zwei miteinander verwobenen Problemen: Zur Bekämpfung von Krankheiten, die sowohl in Entwicklungs- als auch in Industrieländern häufig auftreten, finden zwar vielfältige Aktivitäten in Forschung und Entwicklung (FuE) statt, da diese jedoch für einen gewissen Zeitraum über die Produktpreise (re)finanziert werden, können vor allem arme Länder die benötigten Arzneimittel wegen der hohen Preise nicht in ausreichender Menge beziehen und der Bevölkerung zugänglich machen (Zugangsproblem). Zu Krankheiten, die fast nur in armen Ländern auftreten, werden kaum neue Produkte entwickelt, denn kostenintensive Forschung und Entwicklung lassen sich über die Produktpreise nicht (re)finanzieren (FuE-Problem).

Auf der Basis der im Jahr 2000 vereinbarten Millenniumsziele wurden vielfältige Maßnahmen zur Verbesserung der Situation vereinbart. Sie sollen vor allem den Zugang zu verfügbaren Arzneimitteln und medizinischer Versorgung verbessern, aber auch dazu beitragen, dass das medizinisch-technische Innovationssystem vernachlässigte armutsassoziierte Krankheiten wieder stärker in den Blick nimmt. Weitgehende Einigkeit besteht darin, dass weder der öffentliche Sektor noch die Privatwirtschaft allein die Kapazitäten besitzen, um Arzneimittel gegen Krankheiten zu entwickeln, die vor allem in armen Ländern auftreten. Unterschiedliche Ansichten gibt es zur generellen Eignung des vorherrschenden patentbasierten Innovationssystems und folglich zu den vielfältigen Maßnahmen, die in den letzten Jahren diskutiert und teilweise auch etabliert wurden. Mitunter wird angemerkt, dass die Vielzahl an Maßnahmen zu einer gewissen Unübersichtlichkeit führt und einen zunehmenden Abstimmungsaufwand erfordert.

Der Ausschuss für Bildung, Forschung und Technikfolgenabschätzung des Deutschen Bundestages hat das Büro für Technikfolgen-Abschätzung beim Deutschen Bundestag (TAB) beauftragt, einen Überblick über die bereits etablierten vielfältigen Programme und Konzepte zur Stärkung von FuE zur Bekämpfung vernachlässigter armutsassoziierte Krankheiten (Poverty-related and Neglected Diseases [PRND]) zu geben. Im vorliegenden Abschlussbericht werden das medizinisch-technische Innovationssystem mit seinen Produktentwick-



lungsphasen und seinen Finanzierungsmechanismen in den Blick genommen und Initiativen öffentlicher und privatwirtschaftlicher FuE-Akteure sowie politische Maßnahmen zur Förderung des Engagements zu vernachlässigten armutsassoziierten Krankheiten dargestellt. Aus der umfassenden Istzustandsanalyse werden Handlungsoptionen für politische Entscheidungsträger abgeleitet, um dem FuE-Problem bei vernachlässigten armutsassoziierten Krankheiten zu begegnen.

---

## Welche Krankheiten, welcher Forschungs- und Finanzbedarf?

2.

Eine einheitliche Definition oder Liste vernachlässigter armutsassoziierten Krankheiten gibt es bisher nicht. Übereinstimmend werden Krankheiten darunter verstanden, die vor allem in armen Ländern auftreten und zu denen Wirtschaftsunternehmen wegen der zahlungsschwachen Nachfrage in den vergangenen Jahren kaum oder keine neuen Produkte entwickelt haben. Mehrheitlich werden Tuberkulose, Malaria, teilweise HIV/Aids – auch als die »großen Drei« bezeichnet –, 17 von der Weltgesundheitsorganisation (World Health Organization [WHO]) als vernachlässigte tropische Krankheiten definierte sowie unterschiedliche Atemwegs- und Durchfallerkrankungen als vernachlässigt und armutsassoziiert aufgefasst. Bei allen handelt es sich um Infektionskrankheiten, die durch vielfältige Erreger (Viren, Bakterien, Einzeller, Würmer) verursacht und teilweise von Insekten oder anderen Zwischenwirten übertragen werden. Zur Verbreitung und zu den gesundheitlichen Folgen dieser Krankheiten gibt es vor allem in Entwicklungsländern oft nur vage Schätzungen. Während die »großen Drei« sowie Atemwegs- und Durchfallerkrankungen nach wie vor in Entwicklungs- und Schwellenländern weit verbreitet sind und in den ärmsten Ländern die meisten Todesopfer fordern, oft schon bei Kindern, sind die 17 vernachlässigten tropischen Krankheiten weit weniger verbreitet, führen seltener zum Tod, gehen jedoch mit gesundheitlicher Einschränkung, Behinderung sowie sozialer Ausgrenzung einher. Nach wie vor fällt es schwer, mit den etablierten Berichtssystemen und Berechnungsmodellen deren gesellschaftliche Bedeutung abzubilden. Vor allem sehr seltene und nur punktuell gehäuft auftretende Krankheiten bleiben mitunter außerhalb des Radars der globalen Gesundheitsberichterstattung. So wurde Ebolafieber vor 2014 auf keiner Liste vernachlässigter Krankheiten geführt.

Inwiefern es zu den genannten Krankheiten einen FuE-Bedarf gibt, schätzen Experten krankheitsspezifisch und für unterschiedliche Produkt- und/oder Personengruppen ab (z. B. Medizinprodukte, Arzneimittel, pädiatrische Formulierungen). Der FuE-Bedarf ergibt sich aus dem jeweils vorhandenen Wissen,



den derzeitigen Möglichkeiten und Grenzen zur Bekämpfung und den jeweiligen Bedingungen in den Gebieten, in denen die Krankheit verbreitet ist. Ein entwicklungsländerspezifischer Bedarf wird vor allem bei insektenabwehrenden Produkten, einfachen und trotzdem spezifischen Tests, die keine besondere Laborausstattung benötigen, Impfstoffen, die möglichst keine Kühlung benötigen, sowie bei lange haltbaren, standardisierten Fixdosiskombinationen benötigter Wirkstoffe gesehen – damit gibt es fast keine Überschneidung mit den Zielsetzungen des medizinisch-technischen Innovationssystem für die Industrieländer (personalisierte Hightechmedizin). Die Kosten zur Deckung eines solch entwicklungsländerspezifischen FuE-Bedarfs lassen sich bisher kaum seriös abschätzen.

---

### Fallbeispiel Malaria

3.

Anhand der vernachlässigten armutsassoziierten Krankheit Malaria werden im Bericht die bestehenden Möglichkeiten und die sich daraus ergebenden Herausforderungen für Forschung und Produktentwicklung beispielhaft dargestellt. Malaria wird von Plasmodien verursacht – einzellige Parasiten, weit größer und komplexer als Viren und Bakterien. Fünf Plasmodienstämme können beim Menschen Malaria auslösen. Sie sind regional unterschiedlich weit verbreitet. Plasmodien werden durch den Stich infizierter Anopheles-Mücken übertragen. Beim Blutsaugen gelangen die Parasiten in den menschlichen Blutkreislauf, breiten sich aus, zerstören rote Blutkörperchen und werden bei späteren Mückenstichen weiter übertragen. Es gibt unterschiedliche Ansatzpunkte zur Bekämpfung von Malaria: Bekämpfung der Mücken, Immunisierung der Menschen, Bekämpfung der Plasmodien im menschlichen Blut.

Gegen die nachtaktiven Mücken werden insektizidhaltige Bettnetze und Innenraumsprays eingesetzt. Bettnetze gelten gegenwärtig als die wirksamste Präventionsmaßnahme. In den vergangenen Jahren wurden weite Teile der Bevölkerung in endemischen Gebieten mit diesen Netzen versorgt, auch durch die milliardenschwere Unterstützung des Globalen Fonds zur Bekämpfung von HIV/Aids, Tuberkulose und Malaria (GFATM). Die verwendeten Insektizide werden in der Landwirtschaft seit Langem in großem Umfang eingesetzt. Die Nutzung zur Malariaprävention ist eine Anwendungserweiterung. Seit Jahren warnen die Landwirtschafts- und Gesundheitsorganisationen sowie das United Nations Environment Programme (UNEP) vor Resistenzenstehungen infolge des parallelen Einsatzes gleicher Substanzen in Medizin und Landwirtschaft. Bereits die erste globale Malariaeradikationskampagne scheiterte in den 1960er Jahren u. a. daran, dass das damals eingesetzte Insektizid seine Wirksamkeit



verlor. Die Entwicklung neuer Insektizide zur Bekämpfung krankheitsübertragender Insekten ist eine dringliche FuE-Aufgabe.

Auch wenn in malariaendemischen Gebieten nahezu alle Menschen über Mückenstiche mit Plasmodien infiziert werden, erkranken an Malaria vor allem diejenigen, deren Immunsysteme die Erreger nicht ausreichend bekämpfen können. Das sind vor allem Babys/Kleinkinder und schwangere Frauen, aber auch Menschen, die sich nur kurzzeitig in malariaendemischen Gebieten aufhalten. Wenn eine Infektion schnell erkannt wird, ist sie mit verfügbaren Medikamenten meist gut behandelbar. Bei Verzögerungen drohen jedoch komplizierte oder gar letale Krankheitsverläufe. Vor allem bei Kleinkindern kann sich eine einfache Infektion schnell zu einer komplizierten Malaria ausweiten. Der derzeit wichtigste Wirkstoff zur Behandlung von Malaria ist Artemisinin, jedoch werden bereits in einigen Regionen Asiens Plasmodien dagegen resistent. Die WHO empfiehlt grundsätzlich Artemisinin mit weiteren Wirkstoffen zu kombinieren, um Resistenzbildungen keinen Vorschub zu leisten. In hochendemischen Gebieten werden besonders gefährdeten Personengruppen Medikamente mitunter prophylaktisch verabreicht. Einerseits können dadurch einige Krankheitsfälle verhindert werden, andererseits forciert auch dieser Doppelleinsatz die Resistenzentstehung. Eine weitere dringliche FuE-Aufgabe ist folglich die Entwicklung neuer pharmakologischer Wirkstoffe. Auch eine schnelle, einfache und trotzdem möglichst genaue Diagnostik ist höchstrelevant. Die bisher verfügbaren Schnelltests sind jedoch gerade in der Anfangsphase der Infektion noch nicht sehr zuverlässig und können bisher keine Arzneimittelresistenzen detektieren. Auch hier gibt es einen dringenden FuE-Bedarf.

Bisher gibt es keine Impfstoffe gegen Krankheiten, die durch Einzeller wie Plasmodien hervorgerufen werden. Ein wirksamer Impfstoff gegen Malaria wäre ein großer Entwicklungsschritt.

Da die Bekämpfung von Malaria als eine der »großen Drei« von der Staatengemeinschaft als ein Millenniumsentwicklungsziel vereinbart wurde, sind vielfältige, auch multilaterale Aktivitäten angelaufen, um die von Malaria betroffenen Länder bei der Krankheitsbekämpfung zu unterstützen, darunter:

- > Gründung der Roll Back Malaria Partnership, um sowohl Bekämpfungs- als auch FuE-Maßnahmen global abzustimmen;
- > Einrichtung und Finanzierung des GFATM, durch den malariaendemische Länder unterstützt werden, verfügbare Produkte (vor allem Bettnetze, Schnelltests und Medikamente) in ausreichender Menge zu beschaffen und bereitzustellen, sowie
- > Stärkung der Grundlagenforschung und Gründung unterschiedlicher spendenfinanzierter, gemeinnütziger Produktentwicklungspartnerschaften (Product Development Partnerships [PDP]), durch die in Kooperation mit der Wirtschaft neue Wirksubstanzen gesucht und bereits verfügbare Arzneimit-



tel weiterentwickelt werden (z. B. neue Wirkstoffkombinationen, pädiatrische Formulierungen).

Trotz intensiver Anstrengungen konnten die großen FuE-Herausforderungen bei der Malariabekämpfung – Substanzneuentwicklungen (Insektizide, Medikamente, Impfstoffe) sowie einfache und genaue Diagnostik – bisher nicht gelöst werden. Wenn das medizinisch-technische Innovationssystem der Industrieländer dazu einen Beitrag leisten soll, dann wird der Aufwand groß sein, denn in diesem System müssen Sicherheit, Wirksamkeit und Qualität der jeweiligen Produkte grundsätzlich belegt werden. Dafür sind erhebliche FuE-Aktivitäten erforderlich. In der medizinischen Versorgung dürfen in den Industrieländern zur Behandlung von Krankheiten nur entsprechend geprüfte, zugelassene und zertifizierte Produkte eingesetzt werden. Auch bi- und multilaterale Programme zur Bekämpfung vernachlässigter armutsassoziierter Krankheiten wie Malaria, an denen sich Industrieländer beteiligen, verlangen zunehmend entsprechende Produktzertifizierungen.

---

## **Das medizinisch-technische Innovationssystem – Ablauf und Öffnung der Verfahren** **4.**

---

### **Ablauf** **4.1**

Für den Nachweis von Sicherheit (potenzielle Risiken für Mensch und Umwelt) und Wirksamkeit bzw. Zuverlässigkeit (in Bezug auf krankheitsspezifische Zustände) hat sich ein strukturiertes Verfahren mit mehreren aufeinander aufbauenden FuE-Etappen herausgebildet. Das wissenschaftliche Fundament für jede medizinische Produktentwicklung bilden detaillierte Kenntnisse zu den Krankheitsursachen und den krankheitsbedingten Prozessen im menschlichen Körper (Grundlagenforschung). Die weitere Produktentwicklung erfordert ein zunehmend strukturiertes und formalisiertes Vorgehen, das auch Wirtschaftlichkeitsfragen berücksichtigen muss. In den frühen Entwicklungsetappen werden vielfältige Substanzen geprüft, applizierbare und produzierbare Kandidaten selektiert und weiterentwickelt sowie erste Sicherheitsfragen beantwortet (in der sogenannten Präklinik anhand von Zellkulturen und durch Tierversuche). Nach erfolgreichem Abschluss der Präklinik dürfen Tests am Menschen (klinische Studien) beantragt werden, zunächst an gesunden Freiwilligen (Phase I), um weitere Sicherheitsfragen zu beantworten, dann an der eigentlichen Zielpopulation, um die präventive oder therapeutische Wirksamkeit zu belegen (Phase II und III). Bei erfolgreichem Abschluss kann eine Marktzulassung beantragt wer-





den. Auch danach wird die Sicherheit und Wirksamkeit unter Anwendungsbedingungen weiter untersucht (Phase IV).

Längst nicht alle anfangs hoffnungsvollen Produktkandidaten können zu sicheren und wirksamen Arzneimitteln und Medizinprodukten entwickelt werden. Kontinuierlich werden Erfolgskriterien (Sicherheit, Wirksamkeit, Wirtschaftlichkeit) geprüft und nur die erfolgsversprechendsten für die Weiterentwicklung ausgewählt. Das heißt auch, dass die Entwicklung etlicher Produktkandidaten im Laufe des Innovationsprozesses abgebrochen wird. Damit geht jede Produktentwicklung mit erheblichen Risiken des Scheiterns einher.

Die FuE-Aktivitäten bis einschließlich klinischer Studien der Phase I können überall dort durchgeführt werden, wo es Labore und Kliniken mit dem notwendigen Fachpersonal gibt und bei Arzneimitteltests auch gesunde Freiwillige gefunden werden, die sich als Testpersonen zur Verfügung stellen. Klinische Studien laufen in den Industrieländern nach formalisierten Genehmigungs- und Durchführungsverfahren ab. Eine juristische Person (normalerweise der Hersteller) trägt die Kosten und die Gesamtverantwortung für die Studiendurchführung und haftet bei möglichen Folgen. Sowohl eine staatliche Prüfinstanz als auch eine unabhängige medizinische Ethikkommission müssen zustimmen. Alle Studien an Patientenkollektiven müssen in Register eingetragen werden.

Nach den gültigen Standards müssen klinische Studien spätestens zum Wirksamkeitsnachweis in die Regionen verlagert werden, in denen die jeweiligen Krankheiten auftreten – bei vernachlässigten armutsassoziierten Krankheiten in die Länder des globalen Südens. Sowohl die klinischen Zentren zur Studiendurchführung als auch entsprechende Governancessstrukturen (staatliche und medizinethische Prüfinstitutionen, Studienregister) müssen dort oft erst auf- bzw. ausgebaut werden – eine große Herausforderung, auch weil ausgebildete Fachkräfte häufig in die Länder des globalen Nordens abwandern. Für die Durchführung klinischer Studien entstehen derzeit insbesondere in Subsahara-Afrika Netzwerke und Allianzen (z. B. Malaria Clinical Trials Alliance, African Vaccine Regulatory Forum, Pan African Clinical Trials Registry), die darauf abzielen, dort ähnliche Strukturen wie in den Ländern des globalen Nordens zu etablieren und nachhaltig zu betreiben.

FuE-Aktivitäten zu vernachlässigten armutsassoziierten Krankheiten gehen meist mit einem erhöhten Ressourcenbedarf und Zeitaufwand einher. Oftmals müssen noch Aufbauarbeiten geleistet werden, sodass Genehmigungsverfahren länger dauern und Studien noch nicht so routiniert durchgeführt werden können wie in den Ländern des globalen Nordens. Diese Herausforderungen führen inzwischen zu einem verstärkten kooperativen Vorgehen. Die Arzneimittelzulassungsbehörden der USA (Food and Drug Administration [FDA]) und der EU (European Medicines Agency [EMA]) arbeiten vermehrt auch mit der WHO, mit öffentlichen und privaten FuE-Akteuren sowie internationalen



Fonds und Allianzen zusammen, um die notwendigen Schritte zur Durchführung klinischer Studien entsprechend den Standards der Industrieländer abzustimmen. Bei der Auswertung der Studiendaten und bei der Ergebnisbewertung können Forschungseinrichtungen und Aufsichtsbehörden der Industrieländer die Einrichtungen vor Ort erheblich unterstützen. FDA und EMA haben spezielle Verfahren zur schnellen und kostengünstigen Arzneimittelbewertung, teilweise auch zur Marktzulassung für vernachlässigte armutsassoziierte Krankheiten etabliert. Bisher wurden diese Verfahren nur in wenigen Einzelfällen aktiviert. Sollten mittelfristig vermehrt Arzneimittelbewertungen erfolgen, müssten die dafür nötigen Ressourcen erweitert werden. Langfristig sollte bei Genehmigungs- und Bewertungsangelegenheiten eine nationale/regionale Autonomie der Länder des globalen Südens angestrebt werden – eine klassische Aufgabe der Entwicklungszusammenarbeit, nicht der Forschungsk Kooperation.

#### FuE-Aufwand am Fallbeispiel eines Impfstoffkandidaten

Der bislang hoffnungsvollste Malariaimpfstoffkandidat Mosquirix<sup>®</sup> ging aus einer 30-jährigen Kooperation zwischen öffentlichen und privaten FuE-Akteuren sowie der langjährigen Beteiligung einer PDP hervor. Letztere hat insbesondere die Durchführung der klinischen Studien in Subsahara-Afrika unterstützt. 2008 begann die Konzeption der klinischen Studie zum Wirksamkeitsnachweis (Phase-III-Studie). Ab 2009 wurden 15.500 Babys und Kleinkinder in elf klinischen Zentren in Subsahara-Afrika viermal geimpft und dann bis 2014 überwacht. Die meisten afrikanischen Zentren wurden von europäischen oder US-amerikanischen FuE-Einrichtungen wissenschaftlich unterstützt. Deutlich wurde, dass auch mit dem erheblichen Impfaufwand Malaria nur teilweise verhindert werden kann (ca. ein Drittel weniger Erkrankungen). Auf der Grundlage des 250.000-seitigen Antrags hat die EMA 2015 zwar eine positive Nutzen-Risiko-Bewertung erteilt, dennoch ist unklar, ob die viermalige Impfung und die damit ohnehin nur teilweise Wirksamkeit in der Alltagsanwendung realisierbar sind. Die WHO hat zusätzliche Pilotprojekte mit ca. 1 Mio. Teilnehmer gefordert. Eine Impfempfehlung könne erst nach Auswertung dieser Pilotprojekte erwogen werden. Nach eigenen Angaben hat der Hersteller bisher mehr als 600 Mio. US-Dollar investiert, die PDP weitere 200 Mio. US-Dollar (im Wesentlichen Spenden der Gates-Stiftung). Die Kosten der wissenschaftlichen Unterstützung durch europäische und amerikanische Einrichtungen sind nicht beziffert. Wie die geforderten Pilotprojekte finanziert werden sollen, ist derzeit offen. Allein für die Produktbereitstellung veranschlagt der Hersteller 20 Mio. US-Dollar (5 US-Dollar pro Impfdosis).



---

## Öffnung von Forschungsinfrastrukturen und kooperative Nutzung (Open Innovation)

4.2

Für medizinische Grundlagenforschung, Substanzentdeckung und -entwicklung werden heute aufwendige Hochtechnologien eingesetzt (u. a. höchstauflösende Mikroskope, DNA-Sequenzierertechnik, Hochdurchsatzscreeningtechnologie umfangreicher Substanzrepositorien, einschließlich leistungs- und speicherstarker Datenverarbeitungstechnologie). Diese Forschungsinfrastrukturen werden gegenwärtig vor allem in den Industrie- und einigen Schwellenländern mit erheblichem Ressourceneinsatz auf- und ausgebaut. In Europa werden sie zunehmend vernetzt und gemeinsam genutzt. Die Öffnung und Nutzung dieser Einrichtungen auch für Aktivitäten zur Erforschung vernachlässigter Krankheiten sind ein Schlüsselement für die Verbesserung der derzeitigen Situation, denn unter den gegebenen Umständen scheint es nahezu ausgeschlossen, dass vergleichbare Infrastrukturen in Entwicklungsländern etabliert werden könnten. Die im Rahmen der Malariagenomforschung gegenwärtig entstehenden internationalen Forschungsnetzwerke und offenen Datenaustauschplattformen, wie z. B. das Plasmodium Diversity Network Africa (erforscht genetische Unterschiede und Biomarker für die beginnende Artemisininresistenz der Parasiten insbesondere in Subsahara-Afrika) oder das Genomic Epidemiology Network (erstellt einen Atlas der Genomvarianz der am weitesten verbreiteten Plasmodien), die ihre Forschungsdaten und -ergebnisse online frei zugänglich machen, können richtungsweisend auch für Forschungsaktivitäten zu anderen Krankheiten sein.

Auch etliche Unternehmen beginnen, ihre FuE-Infrastrukturen für die Produktentwicklung zu vernachlässigten armutsassoziierten Krankheiten zu öffnen. Dabei gibt es unterschiedliche Formen der Öffnung und damit vielfältige Interpretationen dessen, was unter der Bezeichnung Open Innovation verstanden und subsumiert wird. Das derzeit wohl weitreichendste Experiment startete der britische Pharmakonzern GlaxoSmithKline 2010, um zu prüfen, inwiefern sich das Geschäftsmodell der Open-Source-Softwareentwicklung (die Zusammenarbeit Freiwilliger bringt Produkte hervor, die keiner Firma alleinig gehören) auf die Arzneimittelentwicklung übertragen lässt. Zentrale Elemente sind ein Patentpool und ein Open Lab. Im Patentpool befinden sich die geistigen Eigentumsrechte an den firmenintern ermittelten malariaspezifischen Substanzhits sowie die dazugehörigen Daten und Wissensbestände. Sie sind für die Wirkstoffentwicklung zur Bekämpfung anderer vernachlässigter armutsassoziierten Krankheiten (ausgenommen HIV/Aids) frei zugänglich und nutzbar, sofern ein späterer sozialverträglicher Produktzugang für Entwicklungsländer gewährleistet wird. Der Patentpool fand in wenigen Jahren erhebliche Resonanz. Mehr als 40 öffentliche und private FuE-Akteure beteiligen sich (deutsche sind bislang



nicht darunter). Inzwischen wurde er der Weltorganisation für geistiges Eigentum (World Intellectual Property Organization [WIPO]) übergeben, die ihn mit einer US-amerikanischen Nonprofitorganisation betreibt. Am Open Lab können auch externe Wissenschaftler die FuE-Infrastrukturen des Unternehmens für Aktivitäten zu vernachlässigten armutsassoziierten Krankheiten nutzen, sofern sie einem späteren sozialverträglichen Produktzugang zustimmen. Inzwischen unterstützt die Europäische Kommission diese Initiative und kofinanziert mehrjährige Forschungstätigkeiten am Open Lab für erfahrene Wissenschaftler.

Inwiefern unterschiedliche Formen von Open Innovation FuE-Aktivitäten zu vernachlässigten armutsassoziierten Krankheiten in nennenswertem Umfang nachhaltig stärken können, lässt sich derzeit noch nicht realistisch abschätzen. Denn auch wenn offene Infrastrukturen die derzeitigen Hürden in Bezug auf PRND-FuE senken und gute Möglichkeiten der Beteiligung und Nutzung eröffnen, sind sie nicht automatisch kostenlos. Die notwendigen (prä)klinischen Studien bis zur Produktzulassung werden von Stufe zu Stufe umfangreicher, aufwendiger und verantwortungsvoller. Nur wenn es gelingt, die erforderlichen Mittel für den gesamten Innovationsprozess bereitzustellen, kann ein Beitrag zur Bekämpfung dieser Krankheiten daraus erwachsen.

---

## **Marktwirtschaftliche Finanzierungsmechanismen und vernachlässigte Krankheiten** **5.**

In den Industrieländern werden auch umfangreiche medizinisch-technische Produktentwicklungen in erheblichem Maße marktwirtschaftlich finanziert. Einerseits liegt die Hauptlast der mit erheblichen Risiken behafteten FuE-Aufgaben bei den Herstellern neuer Arzneimittel, andererseits werden ihnen im Gegenzug Schutzrechte am geistigen Eigentum gewährt, die ihnen eine zeitlich befristete alleinige gewerbliche Nutzung der Ergebnisse garantieren und dadurch FuE-Investmentreturns ermöglichen. Die gewerblichen Nutzungsrechte sind über Lizenzen handelbar. Mit diesem Verfahren konnten in den Industrieländern vielfältige FuE-Aktivitäten kommerzialisiert und entsprechende Kosten über spätere Produktpreise refinanziert werden. Dabei werden öffentliche Haushalte, die das jeweilige nationale Gesundheitssystem mitfinanzieren, nicht durch die Finanzierung der Produktentwicklung belastet, sondern durch die Erstattung des Einsatzes resultierender Arzneimittel, für die der zunächst alleinige Hersteller den Preis selbst festsetzen kann. Im medizinisch-technischen Innovationssystem relevant sind vor allem zeitlich befristete Schutzrechte zur gewerblichen Nutzung von



- › *Erfindungen* – diese werden vor allem durch Patente geschützt (Substanzen, Herstellungsverfahren, Rezepturen und Anwendungsindikationen können patentrechtlich geschützt werden) – sowie
- › *Daten und Ergebnisse aus klinischen Studien und Zulassungsunterlagen* – diese werden durch arzneimittelrechtliche Verfahren zur Datenexklusivität und zum Unterlagenschutz gesichert.

Solange die alleinige gewerbliche Nutzung gesichert ist, haben Hersteller einen großen Spielraum bei der Preisfestsetzung, der über die (Re-)Finanzierung von FuE-Aufwendungen auch positive Investmentreturns (Gewinne) ermöglicht. Nach Ablauf der Schutzfristen können andere Hersteller mit begrenztem Aufwand äquivalente Produkte (Generika) auf den Markt bringen, denn wichtige Produktinformationen (Rezepturen, Einsatzbereiche) liegen offen und in Bezug auf Sicherheit und Wirksamkeit bis hin zur Überwachung unter Anwendungsbedingungen kann vollständig auf das Original verwiesen werden. Da nur die biologische Äquivalenz zum Originalpräparat nachgewiesen werden muss, fallen vergleichsweise geringe Entwicklungs- und Zulassungskosten an. Die dann einsetzende herstellereitige Wettbewerbssituation führt insgesamt zu erheblichen Preissenkungen. Das Preisniveau der jeweiligen Substanzen wird dann maßgeblich durch den Produktionsaufwand und die Gewinnmargen der Generikahersteller bestimmt.

Dieser Grundstruktur des kommerzialisierten, pharmakologischen Innovationsprozesses entspringen unterschiedliche Strategien und Marktdynamiken: Vor allem die großen, forschenden Pharmaunternehmen bauen sogenannte Produktportfolios auf, die möglichst mehrere Substanzkandidaten in allen FuE-Phasen wie auch zugelassene Originalpräparate enthalten. FuE-Aktivitäten, -Risiken und -Aufwendungen werden unternehmensintern gepoolt und aus den Erlösen zugelassener Produkte umlagefinanziert. Auch wenn die Finanzierungsstrukturen grundsätzlich bekannt sind, bleiben die jeweiligen FuE-Aufwendungen für Externe hochgradig intransparent (auch, aber nicht nur bei privaten Einrichtungen). Zugleich liefern die zeitlich begrenzten Refinanzierungsmöglichkeiten Herstellern ein Argument, um immer höhere Markteinstiegspreise neuer Arzneimittel zu begründen. Die in den Industrieländern etablierten geistigen Eigentumsrechte erlauben es, Patente und andere Schutzrechte aneinander zu ketten, sodass die zeitliche Befristung des Herstellungsmonopols kontinuierlich ausgeweitet werden kann. Die dadurch möglichen Gewinne stellen einen erheblichen FuE-Anreiz dar und ziehen Investitionen an. Medizinische Bereiche, in denen keine derartigen Gewinne erzielt werden können, werden hingegen forschungsseitig vernachlässigt – auch in Industrieländern. Beispiele sind Arzneimittel gegen seltene Krankheiten oder Antibiotika. Die geistigen Eigentumsrechte als alleinige Ursache für FuE-seitige Vernachlässigung anzusehen, greift jedoch zu kurz, denn diese Vernachlässigung tritt auch bei medizinischen



Prozessen auf, in denen die beschriebenen Schutzrechte gar nicht existieren (z. B. nichtproduktgebundene Innovationen, Versorgungsabläufe).

Regierungen etlicher Industrieländer versuchen, medizinische Bereiche, die auch im eigenen Hoheitsgebiet FuE-seitig vernachlässigt werden, mit unterschiedlichen Maßnahmen zu unterstützen, z. B. mit stärkerer öffentlicher Forschungsförderung, Gebührennachlässen bei Prüfungs- und Zulassungsverfahren, Steuergutschriften oder Innovationsfonds. Einige dieser Maßnahmen können auch FuE-Aktivitäten zu vernachlässigten armutsassoziierten Krankheiten befördern. Manche sind bereits etabliert (z. B. haben viele Industrieländer ihre öffentliche Forschungsförderung zu diesen Krankheiten in den vergangenen Jahren ausgebaut). Andere werden kontrovers diskutiert (z. B. Steuergutschriften oder FuE-Fonds). Sie tragen dazu bei, dass zumindest ein Teil der FuE-Kosten nicht über Produktpreise refinanziert werden muss und/oder dass zusätzliche FuE-Anreize gesetzt werden.

---

## Geistiger Eigentumsschutz – die internationale Situation

6.

Seit Jahrzehnten werden die Vor- und Nachteile des befristeten Schutzes geistigen Eigentums als wirtschaftspolitisches Steuerungsinstrument kontrovers diskutiert. Einerseits kann er erhebliche FuE-Investitionen anreizen, die gerade im Pharmabereich erforderlich sind. Andererseits wird diesen Schutzmechanismen im Kontext vernachlässigter armutsassoziierten Krankheiten sowohl das FuE-Problem (Krankheiten, die Entwicklungsländer besonders betreffen, werden FuE-seitig vernachlässigt) als auch das Zugangsproblem (verfügbare Mittel sind für arme Länder unerschwinglich) angelastet. Einig sind sich Befürworter und Gegner der Schutzmechanismen darin, dass es international einen Zielkonflikt zwischen der Sicherung von FuE-Investitionen und dem Zugang zu Arzneimitteln in Entwicklungs- und Schwellenländern gibt. Folglich haben die spezielle Ausgestaltung des nationalen Rechts und dessen internationale Harmonisierung große Bedeutung bei der Abwägung der Interessen und der Vermittlung in diesem Zielkonflikt.

Die Gewährung und Durchsetzung von geistigen Schutzrechten sind eine nationalstaatliche Angelegenheit, der Schutz gilt grundsätzlich nur in dem Land, in dem er gewährt wird. Bei Patenten gibt es jedoch seit Langem Bestrebungen, die Verfahren international zu harmonisieren. Relevant sind sowohl die Aktivitäten der WIPO (eine UN-Unterorganisation) als auch die der eigenständigen Welthandelsorganisation (World Trade Organization [WTO]).



In einigen der bis in die 1970er Jahre international ausgehandelten und von der WIPO verwalteten Verträge wurden die Patentanmeldeverfahren harmonisiert. Mitgliedsländer verpflichteten sich u. a. in- und ausländische Erfinder gleich zu behandeln, richteten entsprechende Behörden ein und akzeptierten WIPO-zentralisierte Patentvoranmeldungen. Allerdings konnten die einzelnen Länder weiterhin selbst entscheiden, in welchen Technologiesektoren, unter welchen Bedingungen und für welchen Zeitraum sie Exklusivrechte gewährten. In diesem Kontext bezeichnet man eine weite Auslegung des Technikbegriffs, die Patentierfähigkeit bereits kleinerer Neuerungen und lange Schutzfristen als hohes Schutzniveau (in den Industrieländern vorherrschend) und die Beschränkung auf einzelne Sektoren, ein erforderlicher hoher Neuheitsgehalt und kurze Schutzfristen als niedriges Schutzniveau (tendenziell eher in Schwellenländern). Damit konnten trotz zentralisierter Patentvoranmeldeverfahren auf der Basis national abweichender Bestimmungen Patente, die einem Land gewährt wurden, in einem anderen abgelehnt werden.

Einzelne Schwellenländer nutzten diese Situation insbesondere im Pharmabereich strategisch, um gegen das Zugangsproblem vorzugehen, Indien seit den 1970er Jahren besonders intensiv: Patente wurden nur für kurze Zeiträume auf technische Verfahren gewährt, pharmakologisch wirksame Substanzen wurden von der Patentierung hingegen ausgeschlossen. In Kombination mit vereinfachten nationalen Arzneimittelzulassungsverfahren und marktprotektionistischen Maßnahmen entstand eine pharmazeutische Industrie, die darauf spezialisiert war, Verfahrenspatente zu umgehen und neuentwickelte Arzneimittel umgehend generisch herzustellen, ohne aufwendige eigene pharmakologische FuE betreiben zu müssen. Aus Sicht vieler Entwicklungs- und Schwellenländer ist das Menschenrecht auf Gesundheit, das u. a. einen erschwinglichen Zugang zu Arzneimitteln erfordert, höher zu bewerten, als der durch die Möglichkeiten des Aufbaus sogenannter Patentwälder beförderte, immer umfassendere Schutz geistigen Eigentums und die Refinanzierung von FuE-Investitionen ausländischer Unternehmen – insbesondere weil die Produkte gar nicht für die Märkte der Entwicklungs- und Schwellenländer entwickelt wurden und deren Beteiligung an der FuE-Refinanzierung folglich reine Mitnahmeeffekte für die Patenthalter sind.

Da eine Einigung zwischen Industrie- und Schwellenländern innerhalb der WIPO aufgrund der vergleichsweise starken Position der Entwicklungs- und Schwellenländer kaum zu erwarten war, suchten die Industrieländer ein Gremium außerhalb der WIPO, um ihre Interessen bezüglich des Innovations-schutzes durchzusetzen. Sie fanden es in den Welthandelsrunden.



Im Rahmen der Welthandelsrunden gelang es den Industrieländern in den 1990er Jahren, das Übereinkommen über handelsbezogene Aspekte der Rechte des geistigen Eigentums (Agreement on Trade-Related Aspects of Intellectual Property Rights [TRIPS]) an die Handelsverträge zu koppeln. Die zentralen TRIPS-Bestimmungen sind:

- > Patentschutz wird für Erfindungen auf allen Gebieten der Technik gewährt (keine nationale Patentverweigerung z. B. für Arzneistoffe mehr möglich);
- > Mindestpatentlaufzeit beträgt 20 Jahre ab Antragstellung;
- > Streitschlichtung erfolgt innerhalb des WTO-Handelsregimes (WTO-Schiedsgerichte mit weitreichenden Sanktionsmöglichkeiten auch gegen Staaten);
- > bei nationaler Gesundheitsgefährdung können die Verfahren durch sogenannte Flexibilitäten eingeschränkt werden;
- > technische Unterstützung für Entwicklungs- und Schwellenländer bezüglich der Vertragsumsetzung und lange Übergangsfristen zur Realisierung.

Dieses Übereinkommen, dessen Annahme an eine WTO-Mitgliedschaft automatisch gebunden war, schloss die Patentumgehungsstrategien einzelner Schwellenländer zum Schutz der Gesundheit ihrer Bevölkerung zunehmend aus. Es stärkt einerseits den FuE-Investitionsschutz weltweit. Andererseits soll es im Zielkonflikt zwischen diesem Investitionsschutz und der Arzneimittelversorgung bei gesundheitspolitischen Risiken auf nationalstaatlicher Ebene vermitteln. Das erheblich verschärfte Zugangsproblem soll insbesondere durch die Flexibilitäten begrenzt werden. Diese wurden bereits im TRIPS-Abkommen verankert und durch die Doha-Erklärung bekräftigt und konkretisiert. Die Flexibilitäten bieten nach wie vor einen gewissen Spielraum bei der Festsetzung des Schutzniveaus und erlauben Zwangslizenzierungen auf laufende Patente bei gesundheitspolitischen Problemsituationen.

Industrieländern, allen voran den USA, werden z. T. Ambitionen attestiert, bestehende Schutzstandards weiter erhöhen zu wollen. Kritiker sind der Meinung, dass diese Ambitionen in internationalen Verhandlungsrunden am Widerstand der Schwellen- und Entwicklungsländer scheitern dürften und dass Industrieländer deshalb versuchen, die Standards im Rahmen bilateraler Handelsverträge anzuheben. Da EU-Mitgliedsländer vielfältige Aufgaben der gemeinsamen Handelspolitik der Europäischen Kommission übertragen haben, wurden für den vorliegenden Bericht potenziell relevante EU-Handelsverträge diesbezüglich untersucht. Die Analyse lieferte keine Belege, dass die durch das TRIPS-Abkommen eröffneten nationalen Freiräume durch EU-Handelsverträge systematisch beschnitten werden. Die Verträge sind in aller Regel so offen und teilweise auch ambivalent formuliert, dass sie einen weiten Implementie-





zungsspielraum bieten, der sowohl im Interesse der Patentinhaber als auch im Sinne gesundheits- und entwicklungspolitischer Anliegen genutzt werden kann.

TRIPS und andere Handelsverträge können handelsbezogene Aspekte von geistigen Eigentumsrechten regeln. Eine solche Regelung setzt jedoch voraus, dass entsprechende Produkte bereits entwickelt, zugelassen und damit handelbar sind. Das bedeutet, dass mit diesen Verträgen und den vereinbarten Flexibilitäten in gesundheitspolitischen Problemsituationen das Zugangsproblem zu verfügbaren Produkten für Entwicklungs- und Schwellenländer beeinflusst wird. Es gibt unterschiedliche Einschätzungen zu der Frage, wie gut oder schlecht dies gelingt.

Ungenügende Forschungsanreize vor allem zu Krankheiten, die fast ausschließlich in Entwicklungs- und Schwellenländern auftreten, können mittels Handelsverträgen allein nicht kompensiert werden (FuE-Problem). Denn Handelsverträge regulieren Marktmechanismen, die ja per Definition bei vernachlässigten armutsassoziierten Krankheiten versagen. Bei zahlungsschwacher Nachfrage (d. h., wenn über die Produktpreise die FuE-Kosten nicht in ausreichendem Maße refinanziert und keine Gewinne erwartet werden können) funktioniert das Finanzierungsprinzip mittels geistiger Eigentumsrechte zumindest nicht vollständig. Je ungünstiger das Verhältnis zwischen notwendigem FuE-Aufwand und (Re-)Finanzierungsmöglichkeiten über den Verkauf der Produkte, desto wichtiger werden solche ergänzenden oder alternativen Finanzierungsmechanismen, die die FuE-Kosten bzw. deren Refinanzierung von den Produktpreisen entkoppeln.

---

## **Staatliche Maßnahmen zur Stärkung der Forschung und Entwicklung**

**7.**

Etliche Länder haben in den vergangenen Jahren ihr nationales Engagement zur Stärkung der FuE zu vernachlässigten armutsassoziierten Krankheiten (PRND-FuE) erhöht. Vergleicht man das staatliche Engagement Deutschlands mit dem Großbritanniens und dem der USA – zwei Länder, die ebenso bedeutende medizinisch-technische FuE-Standorte sind –, so wird deutlich, dass die britische und die US-amerikanische Regierung der Unterstützung von PRND-FuE seit Jahren einen viel höheren Stellenwert beimessen und sich dort öffentliches Engagement mit philanthropischem und privatwirtschaftlichem Engagement gegenseitig besser zu verstärken scheinen. Alle drei Länder nutzen die folgenden, seit Jahren etablierten staatlichen Instrumente:

- > *nationale Forschungsförderung* zur Stärkung der Grundlagenforschung und früher Produktentwicklung vor allem im eigenen Land;



- › Beteiligung an der *European and Developing Countries Clinical Trials Partnership* (EDCTP), ein nahezu ausschließlich durch öffentliche FuE-Einrichtungen realisiertes Kooperationsprogramm zum Kapazitätsausbau der klinischen Studiendurchführung nach internationalen Standards in afrikanischen Ländern (programmgemäß keine US-amerikanische Beteiligung, dennoch beteiligen sich amerikanische FuE-Einrichtungen an einzelnen Projekten);
- › Förderung von international agierenden gemeinnützigen *Produktentwicklungspartnerschaften* zur expliziten Unterstützung der Produktentwicklung in Kooperation mit öffentlichen FuE-Einrichtungen und der Wirtschaft;
- › Förderung von *FuE-Strukturen in Entwicklungsländern*.

Die USA und Großbritannien setzen diese FuE-Förderinstrumente jedoch fallweise erheblich umfangreicher ein als Deutschland. In Deutschland wurden 2011 mit dem Förderkonzept für vernachlässigte armutsassoziierte Krankheiten des Bundesministerium für Bildung und Forschung (BMBF) zunächst die meist schon jahrelang etablierten Instrumente vor allem umorganisiert und neu gerahmt, bevor bei der Fortschreibung des Konzepts 2015 bei einigen Instrumenten ein finanzieller Ausbau vorgesehen wurde. Die entsprechende nationale Forschungsförderung soll seitdem stärker über das Deutsche Zentrum für Infektionsforschung (DZIF), einer Neuvernetzung seit Langem etablierter FuE-Einrichtungen, gelenkt werden. Inwiefern die spezifischen Probleme der Entwicklungsländer expliziter in den Blick genommen und berücksichtigt werden als in früheren Strukturen, ist eine offene Frage. Die PDP-Förderung war, wie in vielen anderen Industrieländern, ursprünglich dem Ressort für Entwicklungszusammenarbeit zugeordnet. 2011 erfuhr sie statt der geforderten finanziellen Stärkung eine Ressortverschiebung und damit eine Begründung, zunächst wieder Erfahrungen sammeln und Instrumente evaluieren zu müssen, bevor ab 2016 – selbst mit der Verdoppelung des Förderumfangs (10 Mio. Euro pro Jahr zur PDP-Förderung insgesamt) – nicht einmal ein Sechstel der britischen PDP-Förderung erreicht wird.

Im Rahmen der US-amerikanischen und britischen Forschungsförderung werden zudem Elemente von Open Innovation, in erster Linie Open Access von Forschungsergebnissen, mit viel stärkerem politischem Engagement verfolgt als in Deutschland. Sie erleichtern anderen FuE-Akteuren, Wissensbestände aufzugreifen und weiterzuentwickeln. Darüber hinaus erproben die Regierungen der USA und Großbritanniens weitere Maßnahmen, um vor allem privatwirtschaftliches FuE-Engagement anzureizen und zu belohnen. Die britische Regierung setzt dafür auf Steuergutschriften und umfangreiche Abnahmegarantien für neue Produktentwicklungen, die US-amerikanische auf Gutscheine staatlicher Behörden für prioritäre und kostenreduzierte Bearbeitung von Anträgen und

die Unterstützung spezifischer Funds (im Bericht werden unterschiedliche Fondsideen und deren derzeitiger Realisierungsstatus vorgestellt).

Ein international abgestimmtes Vorgehen der FuE-Stärkung zeichnet sich gegenwärtig weder bei der Generierung neuer Finanzquellen noch beim Umgang und der Verwaltung bestehender Förderstrukturen ab. Internationale Forschungsfonds, um explizit medizinisch-technische FuE zu vernachlässigten armutsassoziierten Krankheiten in relevantem Umfang zu finanzieren, existieren bisher nicht – trotz der seit der Jahrtausendwende kontinuierlich wiederholten Forderungen, die vor allem durch die WHO kanalisiert werden. Auch innerhalb des EDCTP ist es bisher lediglich gelungen, die FuE-Aktivitäten der Teilnehmer abzustimmen, nicht jedoch die finanziellen Beiträge der europäischen Teilnehmerländer mit den Beiträgen der Europäischen Kommission gemeinsam zu verwalten.

Die genannten Maßnahmen zur Bekämpfung des FuE-Problems setzen überwiegend am patentbasierten medizinisch-technischen Innovationssystem an, ohne dieses grundsätzlich infrage zu stellen oder überwinden zu wollen. Das damit assoziierte Zugangsproblem zu neuen Arzneimitteln und Medizinprodukten versucht man über weitere multilaterale Initiativen zum sozialverträglichen Produktzugang zu adressieren.

---

## **Initiativen zum sozialverträglichen Produktzugang 8.**

Seit der Jahrtausendwende wurden unterschiedliche bi- und multilaterale Initiativen gestartet, über die Arzneimittel und Medizinprodukte zur Bekämpfung vernachlässigter armutsassoziierten Krankheiten für Entwicklungs- und Schwellenländer zugänglich gemacht werden sollen:

- > Die Impfallianz Gavi bündelt den Impfstoffbedarf von derzeit 54 Entwicklungsländern, kauft in großen Mengen ein und garantiert Herstellern eine Produktabnahme über mehrere Jahre. Aufgrund finanzieller Unterstützung durch Industrieländer und philanthropische Stiftungen können die Impfstoffe zusätzlich subventioniert werden (die 20 ärmsten Länder erhalten sie kostenlos, mit steigender Wirtschaftskraft müssen sich die Teilnehmerländer stärker an den Kosten beteiligen).
- > Der Globale Fonds zur Bekämpfung von HIV/Aids, Tuberkulose und Malaria (GFATM) stellt entsprechende Arzneimittel und Medizinprodukte für Entwicklungs- und Schwellenländer bereit (Programme in mehr als 100 Ländern). Auch hier werden mittels Förderung durch Industrieländer und philanthropische Stiftungen die notwendigen Produkte für die ärmsten Länder zusätzlich subventioniert und müssen sich die teilnehmenden Ent-



wicklungs- und Schwellenländer mit steigender Wirtschaftskraft stärker an der Finanzierung beteiligen.

- › 2015 startete der Global Financing Facility Trust Fund (GFF Trust Fund) zur Verbesserung der Mütter- und Kindergesundheit, der ebenfalls den Zugang zu Arzneimitteln und medizinischer Versorgung verbessern und spezifische FuE-Lücken (kindgerechte Therapien) schließen soll. Die Initiative wird zunächst in vier afrikanischen Pilotländern getestet.

Durch diese Initiativen sollen die nationalen Gesundheitssysteme vor allem der ärmsten Länder besser mit Arzneimitteln und Medizinprodukten versorgt werden. Gleichzeitig wird der globale Markt für diese Produkte programmbezogen in einen nichtkommerziellen und einen kommerziellen Bereich geteilt. Im nichtkommerziellen Bereich werden möglichst niedrige Produktpreise angestrebt. Insbesondere die ärmsten Länder werden von der (Re-)Finanzierung der FuE-Kosten (über die Produktpreise) entbunden, mitunter werden sie zusätzlich subventioniert, sodass sie auch die Produktionskosten nicht voll tragen müssen. Mit zunehmender Wirtschaftskraft werden die Länder auch in diesem nichtkommerziellen Bereich an den Kosten beteiligt. Positive FuE-Investmentreturns sollen jedoch nur im kommerziellen Bereich (gesamte Nachfrage der Industrieländer und private Nachfrage der Entwicklungs- und Schwellenländer) anvisiert werden können.

Differenzierungen dieser Art, die vor allem Länder mit geringer Wirtschaftskraft von einer Beteiligung an den erforderlichen FuE-Kosten entbinden, werden grob als sozialverträglicher Produktzugang bezeichnet, wobei es eine Interpretationsvielfalt dieser Sozialverträglichkeit gibt. Im vorliegenden Bericht wird auch eine Initiative vorgestellt, die einen sozialverträglichen Produktzugang bereits am Anfang des Innovationsprozesses bei der Auslizenzierung von Patenten verankern will (sozialverträgliche Lizenzen).

Mithilfe dieser Initiativen wird in erster Linie dem Zugangsproblem bei vernachlässigten armutsassoziierten Krankheiten begegnet. Inwiefern sie es schaffen, über die Stärkung der Nachfrage den versagenden Marktmechanismen bei vernachlässigten armutsassoziierten Krankheiten entgegenzuwirken und damit indirekte Anreize setzen, um dem FuE-Problem begegnen zu können, ist eine offene Frage.

---

## **Standort Deutschland: Akteure, Forschungsfelder, Stärken**

**9.**

Deutschland verfügt über hochkompetente öffentliche und privatwirtschaftliche Einrichtungen, die in der Summe nahezu das gesamte Spektrum der FuE zu



vernachlässigten armutsassoziierten Krankheiten abdecken, auch wenn sich die meisten Aktivitäten auf die »großen Drei« beziehen. Diese FuE-Einrichtungen sind in allen Produktbereichen (Arzneimittel und Medizinprodukte) und FuE-Phasen (Grundlagenforschung, frühe präklinische Phasen, klinische Prüfungen) aktiv, wobei sich einige Schwerpunkte und besondere Stärken abzeichnen:

- > Das Engagement zur Bekämpfung von Tuberkulose ist aufgrund seiner Vielfältigkeit und seiner Ergebnisse herausragend. Auch die Aktivitäten zur Weiterentwicklung unterschiedlicher Diagnoseverfahren stechen hervor.
- > Besonderes Know-how und kreative neue Ansätze zeigen deutsche Akteure auch in frühen FuE-Phasen im Impfstoffbereich. Im Vergleich dazu fällt der Ideenreichtum bei der Medikamentenentwicklung ab.
- > Weitere besondere Stärken haben deutsche Unternehmen bei der Bekämpfung krankheitsübertragender Insekten, auch wenn dies derzeit noch als Nischenbereich gilt. Da sich die Lebensräume dieser Insekten durch den Klimawandel auch in die nördliche Hemisphäre ausbreiten, dürfte dieser Bereich auch in den Industrieländern zukünftig an Bedeutung gewinnen.

Deutsche FuE-Einrichtungen nutzen für Aktivitäten zur Bekämpfung vernachlässigter armutsassoziierter Krankheiten nicht nur nationale Förderinstrumente. Bisher ist es äußerst schwierig (mitunter auch unmöglich), aus den nationalen Förderdatenbanken Aktivitäten mit PRND-Bezug herauszufiltern, da eigenständige PRND-Projektlisten oder zumindest spezifische Suchkriterien nicht hinterlegt sind und die Auswahl durch Einzelfallprüfungen der Projektbeschreibungen erfolgt. Unklar ist, inwieweit die Potenziale unterschiedlicher nationaler Innovationsinitiativen wie z. B. KMU-innovativ oder BioÖkonomie 2030 auch für vernachlässigte armutsassoziierte Krankheiten maximal ausgeschöpft werden. Neben den nationalen Fördermöglichkeiten nutzen deutsche FuE-Einrichtungen auch die Möglichkeiten der europäischen Forschungsrahmenprogramme einschließlich der Sonderstrukturen EDCTP und Innovative Medicines Initiative (IMI). Einige Akteure beteiligen sich auch an transatlantischen Projekten und internationalen Ideenwettbewerben, bei denen sie teilweise herausragende Resultate erzielten.

Die Momentaufnahme der deutschen FuE-Aktivitäten lieferte keine Hinweise, die auf eine Überwindung des patentbasierten Innovationsystems hindeuten. Die Verfahren zum Schutz geistigen Eigentums werden intensiv genutzt, an der gemeinsamen Nutzung von Patenten in sogenannten Patentpools beteiligen sich deutsche FuE-Akteure noch nicht. Auch bei der Implementierung anderer Open-Innovation-Elemente gehören deutsche FuE-Akteure bislang keinesfalls zu den Vorreitern. Eine Auflösung der mit den Schutzmechanismen einhergehenden grundsätzlichen Zugangsprobleme zu neuen Arzneimitteln und Medizinprodukten für Entwicklungs- und Schwellenländer zeich-



net sich folglich nicht ab. Deshalb sind die Initiativen für einen sozialverträglichen Produktzugang auch zukünftig von erheblicher Relevanz.

---

## Handlungsfelder

10.

Die Bundesregierung sieht gegenwärtig die Verantwortung für die Stärkung der PRND-FuE im Wesentlichen beim Bundesministerium für Bildung und Forschung (BMBF), das seine gesundheitsbezogenen Aktivitäten bisher vor allem mit dem Bundesministerium für Gesundheit (BMG) sowie dem Bundesministerium für wirtschaftliche Zusammenarbeit und Entwicklung (BMZ) abstimmt. Das TAB ist der Ansicht, dass die Schlagkraft der bereits etablierten Komponenten des Förderkonzepts zu vernachlässigten armutsassoziierten Krankheiten erhöht werden kann, wenn weitere forschungspolitische Elemente hinzukämen und diese mit entwicklungs- und wirtschaftspolitischen Aktivitäten verzahnt und zu einer Gesamtstrategie der Bundesregierung ausgebaut würden.

---

## Forschungspolitik

10.1

Mit dem vom BMBF aufgelegten ressortspezifischen PRND-Förderkonzept sowie der ressorteigenen Afrika-Strategie werden wichtige Elemente der direkten Förderung von PRND-FuE gebündelt. Mit den vier Förderkomponenten wird nicht nur die PRND-Grundlagenforschung in Deutschland finanziert, sondern auch die Vernetzung von FuE-Akteuren sowohl in Nord-Süd- als auch Süd-Süd-Kooperationen gestärkt. Diese Kooperationen sind wichtige Elemente sowohl zum Know-how-Transfer und Kapazitätsaufbau für alle FuE-Aktivitäten entlang der gesamten medizinisch-technischen Innovationsprozesskette als auch zur Abstimmung von FuE-Aktivitäten, um sogenannte blinde Flecken zu erkennen und zu reduzieren und Doppelungen zu vermeiden. Nach der Aufbauphase sollten künftig regelmäßige Fortschrittsberichte des Programms erarbeitet werden. Diese sollten als ein spezifisches Element sozialverantwortlicher FuE (Responsible Research and Innovation [RRI]) zukünftig auch Eingang in die umfangreichen Berichte der Bundesregierung und entsprechender Expertenkommissionen zum Forschungs- und Innovationsstandort Deutschland finden.

Mit den vier Komponenten des Förderkonzepts (nationale Forschung, EDCTP, PDP und Forschungsnetze in Entwicklungsländern) können zwar alle Entwicklungsschritte des medizinisch-technischen Innovationsprozesses adressiert werden, jedoch sind auch nach der Aufstockung die veranschlagten Fördersummen insbesondere für die Durchführung klinischer Studien zur Produktentwicklung noch immer viel zu gering. Es scheint nahezu ausgeschlossen,



dass mit den vorgesehenen Beträgen eine schnelle Produktentwicklung realisiert werden kann. Die Potenziale der gemeinnützigen PDP zur Produktentwicklung gegen PRND können dadurch nicht ausgeschöpft werden. Eine Stärkung früherer FuE-Phasen läuft teilweise ins Leere, wenn sich die zulassungsrelevanten späten klinischen Studien aus budgetären Gründen verzögern oder über lange Zeiträume gestreckt werden müssen.

Weitere forschungspolitische Maßnahmen sollten das BMBF-Programm flankieren. Dazu gehören u. a. die Öffnung von bzw. der Zugang zu Forschungsinfrastrukturen, -daten und -ergebnissen oder auch die gemeinsame Nutzung von Patenten in sogenannten Patentpools für PRND-FuE. Bei den modernen Hightech-Forschungsinfrastrukturen (Substanzbibliotheken und Biobanken, automatisierte Laborausstattungen, Hochleistungsrechner), die in Europa mit erheblicher öffentlicher Beteiligung aufgebaut und ohnehin zunehmend gemeinsam genutzt werden, sollten besondere Verfahren für PRND-Aktivitäten etabliert werden (z. B. kostenreduzierte/-lose Zugangs- und Nutzungsbereiche, spezifische Ansprechpartner), um diese Hochtechnologie bestmöglich auch für PRND-FuE nutzbar machen zu können. Auch bei öffentlich geförderten Innovationsinitiativen – von KMU-innovativ über BioÖkonomie 2030 bis zur europäischen Innovative Medicines Initiative (IMI) – sollte geprüft werden, inwieweit diese PRND-FuE gezielt ermöglichen können. Die Öffnung PRND-bezogener nationaler und/oder europäischer Förderaufrufe auch für Forschungseinrichtungen des globalen Südens wäre ein weiterer Schritt.

---

## **Verzahnung mit Aufgabenbereichen der Entwicklungszusammenarbeit**

**10.2**

Da bei Krankheiten, die vor allem in Entwicklungsländern auftreten, spätestens in der Konzeptnachweisphase erhebliche FuE-Aktivitäten in den jeweils krankheitsendemischen Ländern durchgeführt werden müssen, gilt es, einerseits klinische Zentren und andererseits Prüf- und Kontrollinstanzen sowohl national als auch länderübergreifend auf- und auszubauen. Da klinische Zentren nicht nur FuE-, sondern auch Versorgungsaufgaben übernehmen, sollten Maßnahmen vom BMBF und BMZ miteinander abgestimmt und verzahnt werden, so dass diese sich möglichst gegenseitig ergänzen.

Auch wenn es bei vernachlässigten armutsassoziierten Krankheiten gelingt, die FuE-Kosten zumindest für die am wenigsten entwickelten Länder von den Produktpreisen zu entkoppeln, fallen Produktions- und Distributionskosten an, die bei mangelhaften sozialen Sicherungssystemen die Möglichkeiten der betroffenen Länder überschreiten. Bilaterale Maßnahmen im Rahmen der gesundheitsbezogenen Entwicklungshilfe und multilaterale Allianzen und Fonds



helfen, einen sozialverträglichen Zugang zu qualitätsgeprüften Arzneimitteln und Medizinprodukten in Entwicklungs- und Schwellenländern zu verbessern. Die gesundheitsbezogenen Effekte dieser Initiativen (u. a. Gavi, GFATM) könnten vergrößert werden, wenn es gelingt, deren derzeit höchst unterschiedliche geopolitische Abdeckung zu vereinheitlichen und auszubauen sowie die jeweiligen Aktivitätsspektren und Budgets zu vergrößern. Da die Finanzierung der Initiativen zum sozialverträglichen Produktzugang in der Ressortzuständigkeit des BMZ fällt, liegt eine ressortübergreifende Abstimmung zwischen BMZ und BMBF auf der Hand.

---

### **Verzahnung mit wirtschafts- und innovationspolitischen Maßnahmen** **10.3**

Einige Industrieländer versuchen, schwache Marktmechanismen im Arzneimittel- und Medizinproduktebereich mittels wirtschaftspolitischer Maßnahmen zu stärken. Dazu gehören Steuergutschriften für FuE-Maßnahmen, Belohnung von PRND-FuE mit Gutscheinen oder die massive Stärkung und Absicherung der Produktnachfrage. Auch in Deutschland könnte eine Debatte angestoßen werden, inwiefern wirtschaftspolitische Maßnahmen zur gezielten Stärkung privatwirtschaftlichen Engagements in PRND-FuE mit Verfahren gekoppelt werden, die einen sozialverträglichen Produktzugang absichern.

Parallel zum PRND-Förderkonzept des BMBF legte das damalige Bundesministerium für Wirtschaft und Technologie (BMWi) 2011 eine Exportinitiative zur Gesundheitswirtschaft aufgelegt, um deutsche Unternehmen bei der Erschließung neuer Absatzmärkte zu unterstützen und Deutschland als eines der führenden Exportländer von Gesundheitsprodukten und -dienstleistungen zu etablieren. Da nach Einschätzung des BMWi insbesondere in den Ländern Subsahara-Afrikas noch nicht alle Möglichkeiten ausgeschöpft werden, könnte auch hier eine engere Verzahnung der Maßnahmen mit der Entwicklungszusammenarbeit und Wissenschaftskooperation hilfreich sein, sodass diverse Aktivitäten untereinander Synergien entfalten (wenn TRIPS-Flexibilitäten dadurch nicht eingeschränkt werden).

---

### **Internationale gesundheitspolitische und verfahrenstechnische Aufgabenfelder** **10.4**

Die von den Zulassungsbehörden der Industrieländer und der WHO etablierten Verfahren zur zentralen Nutzen- und Qualitätsbewertung sind gegenwärtig wichtige Elemente, um Arzneimittel und Medizinprodukte über multilaterale





Initiativen in den jeweils empfangsberechtigten Ländern zugänglich zu machen. Sie überbrücken lückenhafte Kapazitäten insbesondere in Subsahara-Afrika. Sollten neue Substanzen vermehrt bis zur Zulassung gebracht werden, müsste der dann erforderliche erhöhte Bewertungsaufwand abgesichert werden. Parallel gilt es, nationale und regionale Governancestrukturen im globalen Süden auf- und auszubauen, um perspektivisch die diesbezügliche Abhängigkeit von Institutionen der Industrieländer zu senken. Die europäisch-afrikanische Initiative EDCTP übernimmt bereits wichtige Ausbildungsaufgaben bezüglich der medizinischen Beurteilung klinischer Studien. Dies ist jedoch nur ein Aspekt der Arzneimittelaufsicht. Der Aufbau notwendiger Governancestrukturen kann nicht durch Forschungsk Kooperationen allein erbracht werden, sondern bedarf auch technischer Entwicklungszusammenarbeit und internationalem gesundheitspolitischem Engagement. Auch hier gilt es, die Aktivitäten abzustimmen und zu verzahnen.

Fallweise könnte geprüft werden, inwiefern sich durch methodische Anpassungen von Studiendesigns der zeitliche und personelle Aufwand zum Sicherheits- und Wirksamkeitsnachweis von Arzneimitteln gegen vernachlässigte armutsassoziierte Krankheiten senken ließe. In den Industrieländern ist dies bei sehr seltenen Krankheiten oftmals möglich (z. B. vorgezogene Zulassung bereits nach erfolgreichem Abschluss der Phase II, Absenkung der Aussagekraft von statistischen Tests). Dort geht dies jedoch regelmäßig mit einer intensiven Überwachung des Substanzeinsatzes unter Anwendungsbedingungen einher – eine besondere Herausforderung für Entwicklungsländer, deren diesbezügliche Kontrollkapazitäten begrenzt sind. Eine für dortige Gegebenheiten praktikable Form der Sicherheitsüberwachung müsste gefunden und etabliert werden.

Anzustreben ist auch eine Verbesserung des PRND-Dokumentationswesens (epidemiologische Erfassung sowie Dokumentation der FuE-Aktivitäten und deren Finanzierung). Bei der Feststellung des krankheitsspezifischen FuE-Bedarfs sowie der Koordinierung der entsprechenden Aufgaben und Aktivitäten wird teilweise eine stärkere Abstimmung gefordert. Durch globale krankheitsbezogene Initiativen (z. B. Stop TB Partnership, Roll Back Malaria Partnership), europäische Forschungsverbundprojekte (aktuell finanziert durch Horizon 2020) wie auch durch global agierende PDP mit ihren spezifischen Produktpipelines findet diese Koordinierung zunehmend statt. Ob durch eine weitere Zentralisierung und globale Steuerung größere Erfolge bei der Produktentwicklung erzielt werden könnten, kann nicht abschließend beurteilt werden.

Statt globaler sind in den vergangenen Jahren vielfältige kleinskaligere Lösungsansätze von Produktbereitstellungsprogrammen bis Patentpools entstanden. Auch wenn es unterschiedliche Ansichten dazu gibt, inwiefern diese Einzelelemente zu einer nachhaltigen Verbesserung der Situation beitragen können, deuten sich in der Auseinandersetzung doch einige Tendenzen an: Ei-



nigkeit herrscht, dass die am wenigsten entwickelten Länder beim Zugang zu Arzneimitteln und Medizinprodukten am umfassendsten unterstützt werden müssen. Bei diesen Ländern wird meist keine Beteiligung an den erforderlichen FuE-Kosten erwartet, Produktionslizenzen für einzelne Arzneimittel zur Versorgung dieser Länder werden kostenlos erteilt. Zusätzliche Subventionen ermöglichen mitunter sogar kostenlose Produktbereitstellungen. Mehrheitlich wird nicht infrage gestellt, dass Industrieländer das bestehende medizinisch-technische Innovationssystem hochgradig über Produktpreise finanzieren. Für Länder, die sich wirtschaftlich zwischen diesen beiden Polen befinden, wird zumindest von den Industrieländern eine Beteiligung an den FuE-Kosten verlangt und eingefordert. Meist gibt es bilaterale Vereinbarungen. Hier gibt es nach wie vor eine Vielfalt an Möglichkeiten, auch weil viele Vorgänge nur bedingt transparent sind. Eine größere Transparenz und Harmonisierung der Vorgehensweisen zur Preisfestsetzung bei neuen Arzneimitteln und Medizinprodukten sollte angestrebt werden. Eine dazu erforderliche Debatte über faire FuE-Finanzierung und faire Arzneimittelpreise sollte international angestrebt werden. Sie dürfte zwar nur bedingt das FuE-Problem bei vernachlässigten arbeitsassoziierten Krankheiten lösen, könnte jedoch zur Senkung des Zugangsproblems zu Arzneimitteln gegen Krankheiten hilfreich sein, die sowohl in Industrie- als auch in Entwicklungs- und Schwellenländern auftreten.

---

### **Ressortspezifische Maßnahmen zu einer Gesamtstrategie der Bundesregierung zusammenführen und finanziell stärken**

**10.5**

Vernachlässigte arbeitsassoziierte Krankheiten gehen mit Problemfeldern und Herausforderungen einher, die in den Verantwortungsbereich unterschiedlicher Ressorts der Bundesregierung fallen (Forschung, Produktentwicklung, Wirtschaftsförderung bis hin zu internationalen Handelsfragen einschließlich der Schutzmechanismen an FuE-Investitionen, Entwicklungszusammenarbeit, globale Gesundheitspolitik). Ein forschungspolitisches Förderkonzept war ein notwendiger und wichtiger erster Schritt, um sich dem globalen Gegenwartsproblem zu stellen, das durch vernachlässigte arbeitsassoziierte Krankheiten verursacht wird. Zur wirksamen Bekämpfung dieses Problems bedarf es jedoch mehr als ressortspezifischen Engagements. Der nächste Schritt sollte ein abgestimmtes Vorgehen mehrerer Ressorts sein – eine Gesamtstrategie der Bundesregierung mit konkreten und abrechenbaren Maßnahmen zur Umsetzung. Deren regelmäßige Berichterstattung sollte vereinbart werden.



**BÜRO FÜR TECHNIKFOLGEN-ABSCHÄTZUNG  
BEIM DEUTSCHEN BUNDESTAG**

KARLSRUHER INSTITUT FÜR TECHNOLOGIE (KIT)

Neue Schönhauser Straße 10  
10178 Berlin

Fon +49 30 28491-0  
Fax +49 30 28491-119

[buero@tab-beim-bundestag.de](mailto:buero@tab-beim-bundestag.de)  
[www.tab-beim-bundestag.de](http://www.tab-beim-bundestag.de)