

# Arzneimittel-Versorgung von Hämophilie-Patienten



In der Vergangenheit hat §47 Arzneimittelgesetz (AMG) eine Ausnahmeregelung der Vertriebswege für Präparate zur Behandlung von Hämophilie-Patienten bestimmt, die eine direkte Lieferung an Ärzte und Krankenhäuser durch die Hersteller erlaubte. Zum 1. September 2020 trat eine Gesetzesänderung in Kraft, mit der für gentechnisch hergestellte Präparate mit Blutbestandteilen eine Apothekenpflicht eingeführt wurde. Nur aus menschlichem Blut gewonnene Blutzubereitungen mit Ausnahme von Gerinnungsfaktorzubereitungen dürfen demnach weiterhin direkt an Ärzte und Krankenhäuser geliefert werden, ohne dass eine Apotheke dazwischengeschaltet ist. Die Gesetzesänderung führte zu deutlichen Auswirkungen auf die Abbildung im Markt der Hämophilie-Arzneimittel wie Analysen von IQVIA zeigen.

## Erkrankung und Behandlung



Hämophilie zählt zu den sog. seltenen Erkrankungen mit nicht mehr als 5 von 10.000 Betroffenen.<sup>1</sup> Die Patienten leiden unter einer Störung der Blutgerinnung. Anhand der Gerinnungsfaktoraktivität wird der Schweregrad der Erkrankung bestimmt: je nach Aktivität des Faktors VIII oder IX im Blut unterscheidet man subhämophile, milde, mittelschwere und schwere Hämophilie.

Ein gesunder Mensch hat in der Regel 70-120 % an Gerinnungsfaktoraktivität, Hämophilie-Erkrankte demgegenüber weniger als 50 %. Häufigste Form ist die Hämophilie A (rund 85 % der Erkrankten; Hämophilie B 15 %).

Während Hämophilie A auf einen Mangel an Gerinnungsfaktor VIII zurückzuführen ist, bestimmt der Mangel an Gerinnungsfaktor IX Hämophilie B. In Deutschland gibt es etwa 10.000 Betroffene; die Behandlungskosten pro Patient liegen im BRD-Durchschnitt bei etwa 300.000 Euro im Jahr.

Hämophilie-Patienten, die bei Bedarf oder regelmäßig substituiert werden müssen, sollten an ein Hämophilie-Zentrum angebunden sein. Die Krankheit gilt bislang als unheilbar; der gegenwärtig verfolgte Therapieansatz liegt in einer Substitutionstherapie mit Faktorpräparaten (Gerinnungsfaktoren). Die Medikamente werden in natürliche und künstliche Produkte unterschieden.

Im natürlichen Bereich erfolgt die Herstellung von Plasmakonzentraten aus Spenderblut, indem benötigte Gerinnungsfaktoren aus Blut aufgereinigt werden. Bei künstlichen Präparaten erfolgt die Herstellung gentechnologisch im Labor. Über diesen Weg entstehen rekombinante Faktor-Präparate.

<sup>1</sup> Definition in der EU

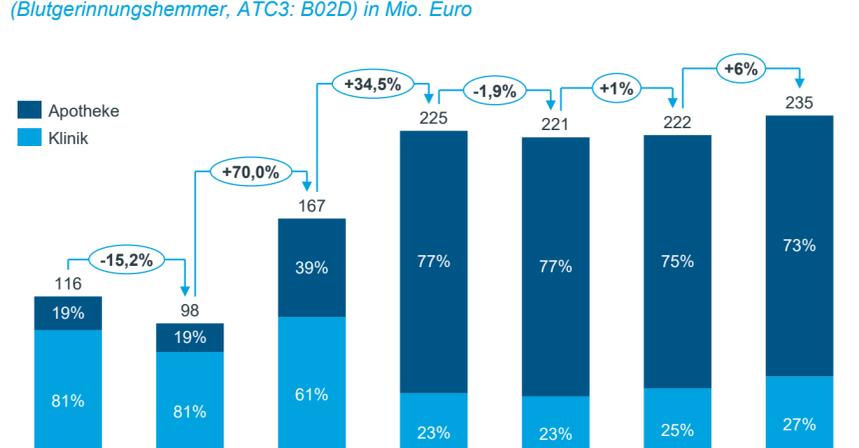
## Sprunghafter Anstieg der Abgaben von Hämophilie-Medikamenten über Offizine



Nach Wachstumsphasen in 2019 und 2020 steigt der Umsatz mit Hämophilie-Präparaten zwischen dem zweiten und dritten Quartal 2020 deutlich an; im Zeitraum der gesetzlich veranlassten Änderung der Vertriebswege also, wie die Marktentwicklung am Beispiel der Faktor VIII-Präparate zeigt. Dabei findet eine Verschiebung zwischen den Sektoren statt, vom Kliniksegment zunehmend in den Apothekenbereich. In den ersten beiden Quartalen 2021 zeichnet sich ein stabiles Niveau ab, somit scheint die Bedarfsdeckung erreicht zu sein.

### Nach sprunghaftem Anstieg in 2020 zeichnet sich in 2021 ein stabiles Umsatzniveau bei Hämophilie-Medikamenten aus der Apotheke ab

Quartalsweise Umsatzentwicklung IQVIA™ Arzneimittelverbrauch – Apotheke und Klinik (Blutgerinnungshemmer, ATC3: B02D) in Mio. Euro



Quelle: IQVIA™ Arzneimittelverbrauch, B02D-Markt, Apothekenabgaben auf Basis Euro zum Abgabepreis des pharmazeutischen Unternehmers (ApU) ohne Abzug jeglicher Rabatte, Klinikverbrauch zu bewerteten Euro

Die Mengenentwicklung nach Zählseinheiten (1 ZE = 1 Injektion) verdreifachte sich im Apothekensektor zwischen drittem und viertem Quartal 2020 nahezu, um danach stabil zu bleiben. Dennoch wird der größere Teil der Injektionen in den Kliniken einschließlich dort angeschlossenen ambulanten Zentren verabreicht.

### Zwischen dem 3. und 4. Quartal 2020 erhöht sich die abgegebene Menge fast um das Dreifache – der größere Teil wird weiterhin über Kliniken abgegeben

Quartalsweise Mengenentwicklung IQVIA™ Arzneimittelverbrauch – Apotheke und Klinik (Blutgerinnungshemmer, ATC3: B02D) in Tausend Zählseinheiten



Quelle: IQVIA™ Arzneimittelverbrauch, B02D-Markt, Retail und Hospital Verbrauch in Zählseinheiten

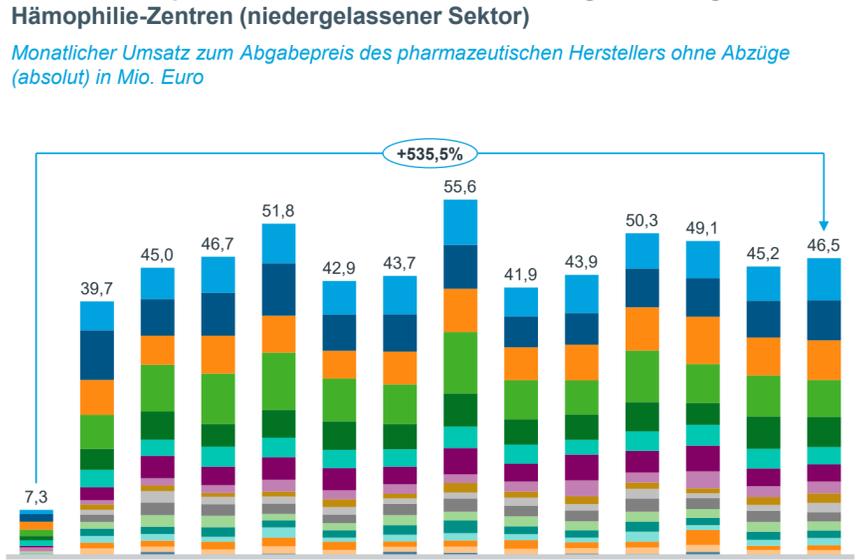
## Wachstum vor allem in Regionen mit Hämophilie-Zentren



In der Wachstumsphase des dritten und vierten Quartals 2020 verbuchten vor allem Regionen der Kassenärztlichen Vereinigungen (KV), in denen Hämophilie-Zentren angesiedelt sind, ein starkes Wachstum. Die führenden fünf KV-Regionen mit den größten Umsätzen sind Niedersachsen, Nordrhein, Bayern, Baden-Württemberg und Hessen – sie vereinen im September 2021 rund 63 % des gesamten Umsatzes mit Faktor VIII-Präparaten in Höhe von 29 Mio. Euro auf sich.

### Faktor VIII-Präparate: Hoher Umsatzanteil in KV-Regionen mit großen Hämophilie-Zentren (niedergelassener Sektor)

Monatlicher Umsatz zum Abgabepreis des pharmazeutischen Herstellers ohne Abzüge (absolut) in Mio. Euro



Quelle: IQVIA PharmaScope® National

## Verbessertes Monitoring der Versorgung

Die im September 2020 gesetzlich eingeführte Apothekenpflicht für den Großteil der Hämophilie-Produkte verbessert die Sicht auf diesen Markt. Damit sind auch neue Möglichkeiten gegeben, die Versorgung der Hämophilie-Patienten in Deutschland zu monitoren.

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

Sie haben Fragen zum Thema oder weiteren Informationsbedarf? Dann wenden Sie sich bitte an Frau [Dr. Gisela Maag](#)