Arzneimittel-Innovationen 2025

Eine Bilanz von AGES und FOPI

Pressegespräch der Österreichischen Agentur für Gesundheit und Ernährungssicherheit (AGES) und des Forums der forschenden pharmazeutischen Industrie in Österreich (FOPI)

Wien, 19. Mai 2026

Ihre Gesprächspartner:innen

- **DI Dr. Günter Waxenecker** | Leiter des Geschäftsfelds Medizinmarktaufsicht der AGES, verfahrensleitendes Mitglied im Bundesamt für Sicherheit im Gesundheitswesen (BASG)
- **Mag.ª Ute Van Goethem** | Präsidentin des Forums der forschenden pharmazeutischen Industrie in Österreich (FOPI)
- **Assoz.-Prof.in Dr.in med.univ. Michaela Defrancesco, MMSc, PhD** | Vizepräsidentin der Österreichischen Alzheimer Gesellschaft & Leiterin der Gedächtnissprechstunde an der Universitätsklinik für Psychiatrie I, Medizinische Universität Innsbruck
- **Dr. Rainer Riedl** | Obmann & Geschäftsführer von DEBRA Austria sowie Obmann von Pro Rare Austria

FOPI und seine Mitgliedsunternehmen

Das Forum der forschenden pharmazeutischen Industrie in Österreich ist die Interessenvertretung von 25 internationalen Pharmaunternehmen mit Fokus auf Forschung und Entwicklung.



Die Schwerpunkte des FOPI

Das FOPI ist die Speerspitze pharmazeutischer Innovationskraft – im Gegensatz zu Generika-, Biosimilar- und OTC-Herstellern sowie dem Großhandel, die andere Schwerpunkte im Arzneimittelmarkt setzen

Schwerpunkte:

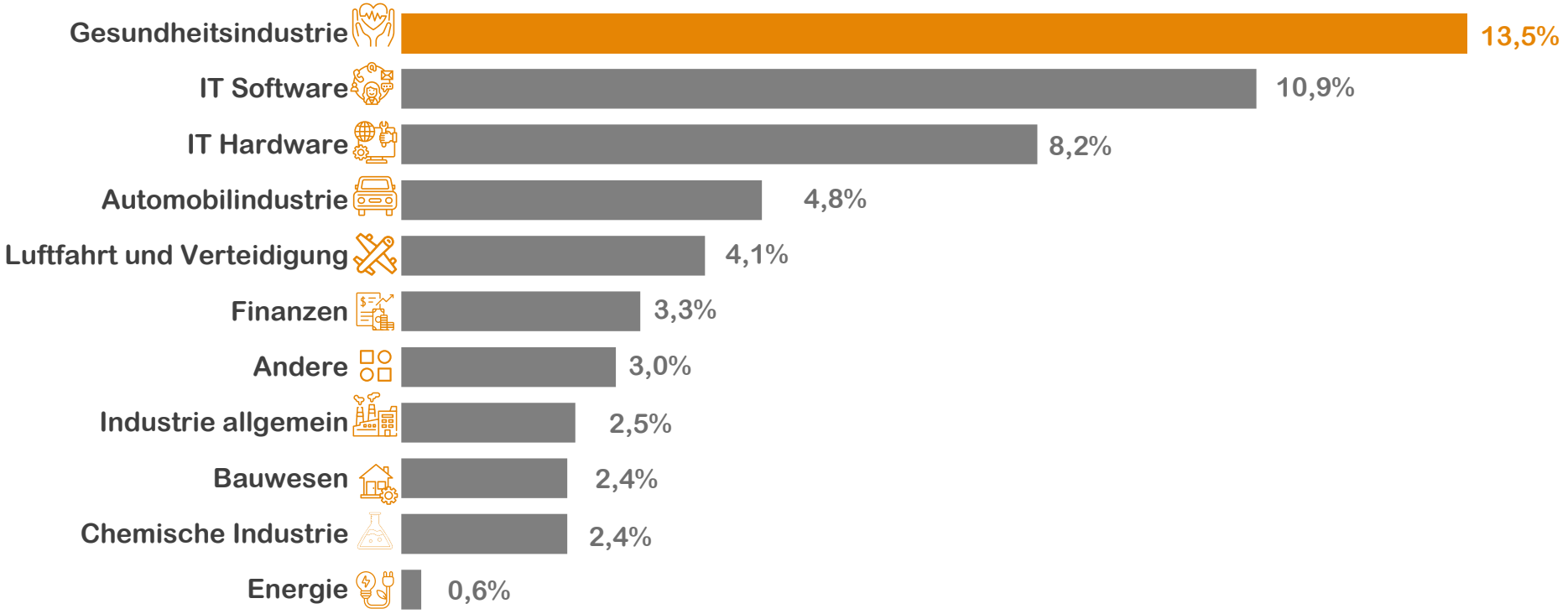






Höchste F&E-Quote

Dazu passend hat die Pharmaindustrie mit 13,5 % des Umsatzes die höchste F&E-Quote aller Technologiesektoren.

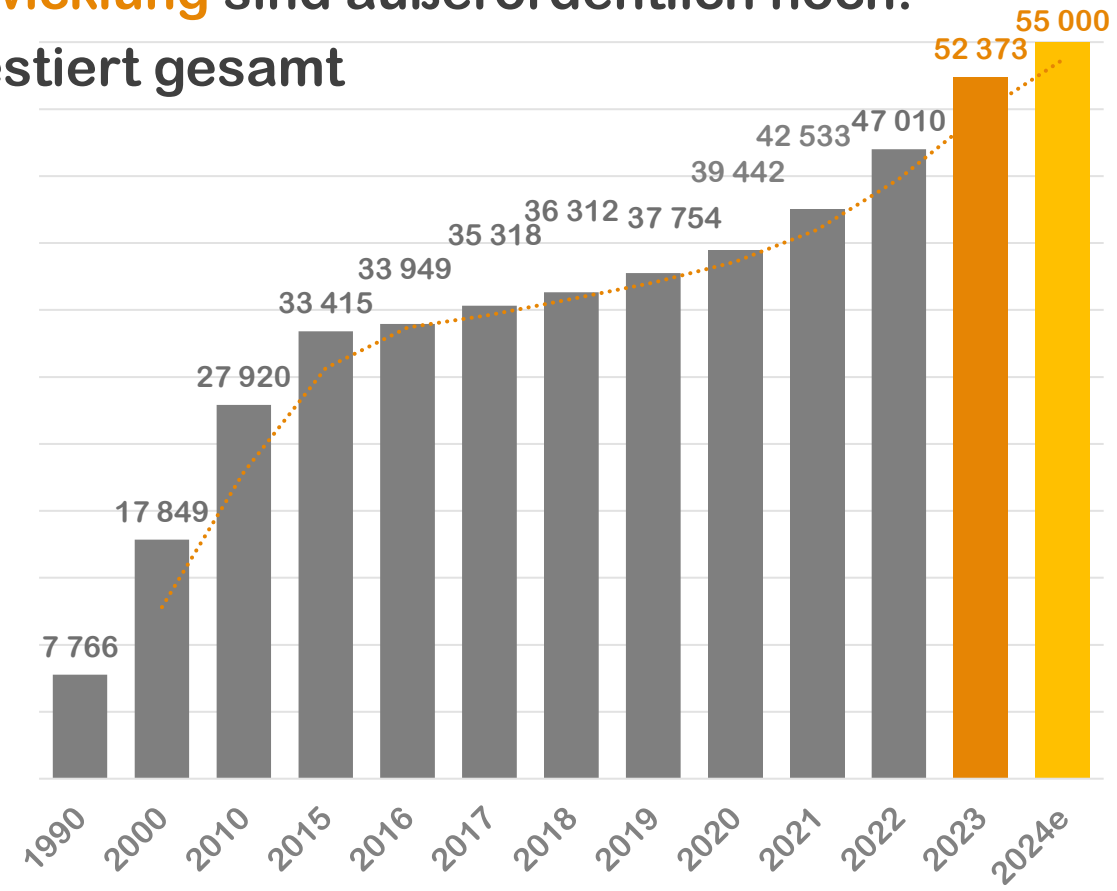


Quelle: The 2024 EU Industrial R&D Investment Scoreboard, EU Commission

Forschung als Investment in die Zukunft

Die Ausgaben für Forschung & Entwicklung sind außerordentlich hoch:
Die Pharmaindustrie in Europa investiert gesamt

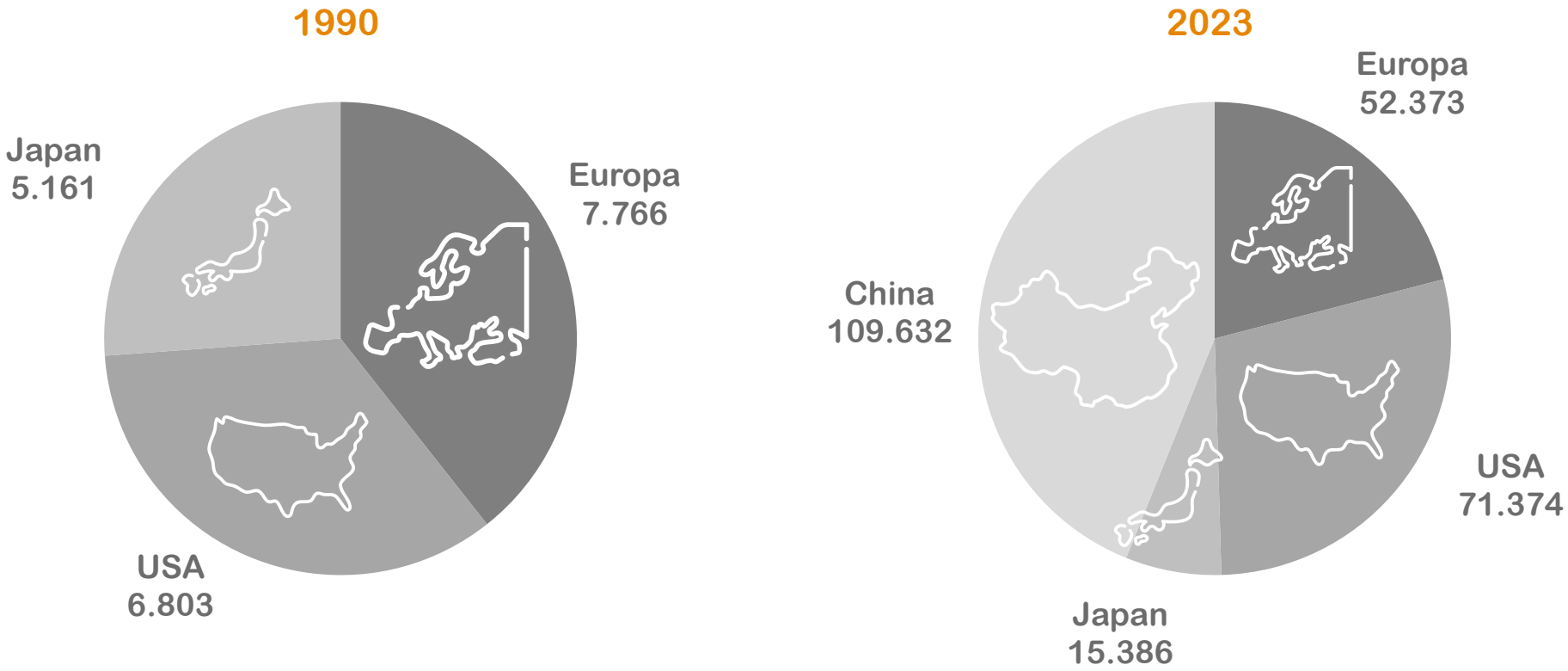
rund 55 Mrd. €.



Quelle: EFPIA Key Facts 2025

Forschung als Investment in die Zukunft

In den 1990er-Jahren entfielen noch knapp 40 % der weltweiten Forschungsausgaben* auf Europa – aktuell sind es nur mehr 21 % – dafür hat China einen Anteil von 44 %

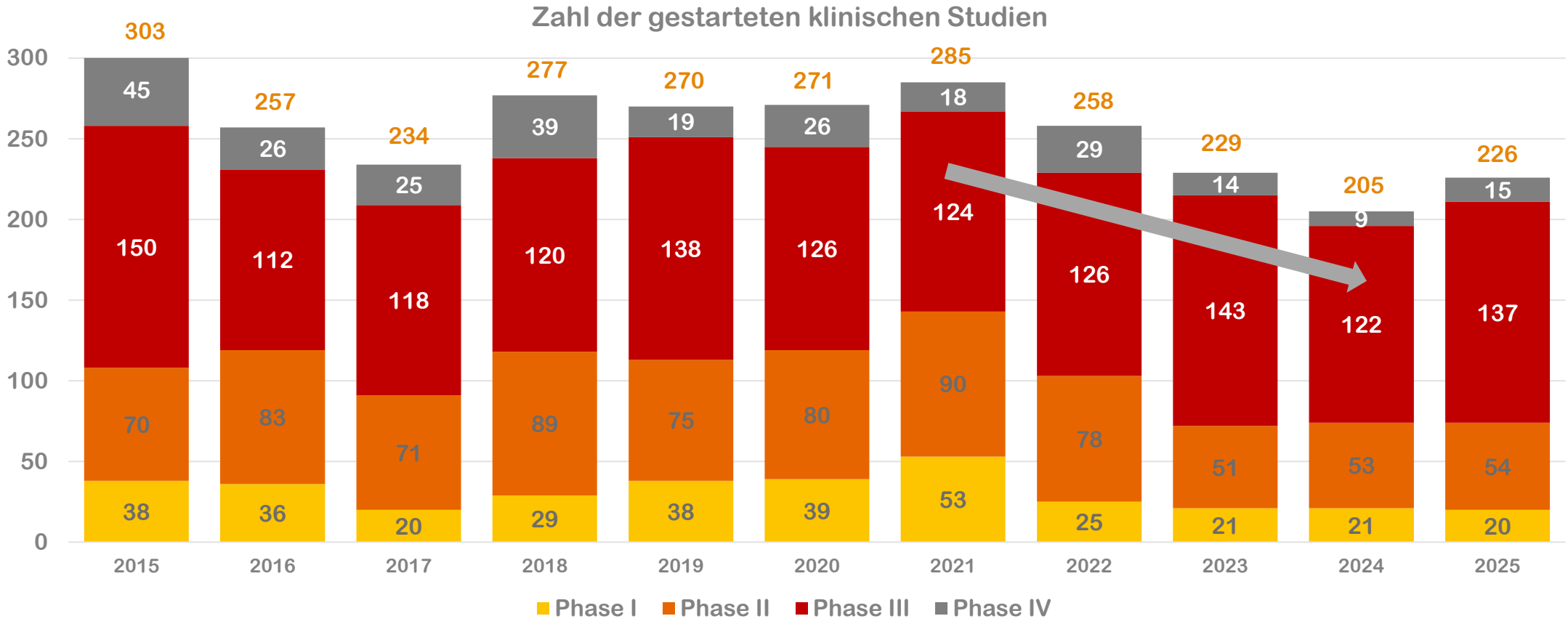


Quelle: EFPIA Key Facts 2025

* Millions of national currency units

Sinkende Zahl klinischer Studien

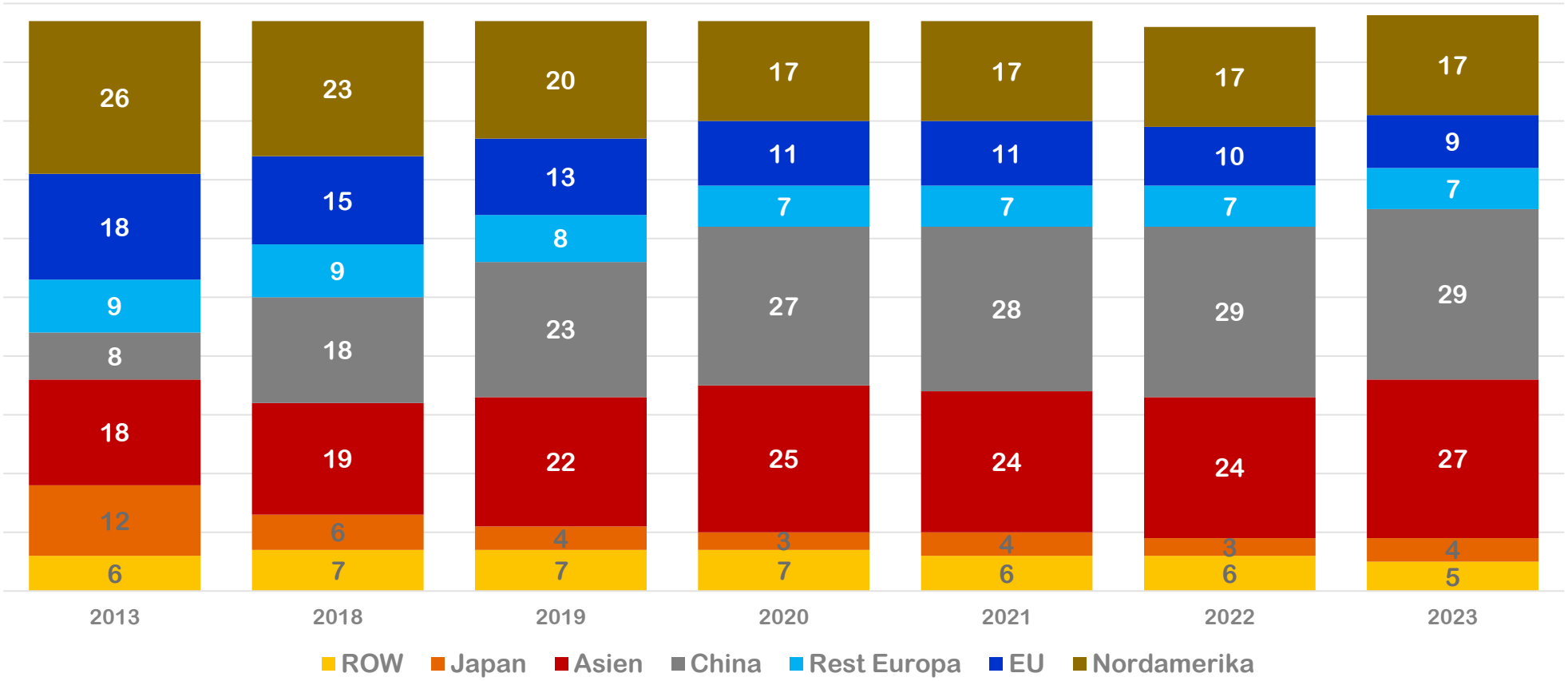
Die Zahl der klinischen Studien zeigt seit Jahren einen Abwärtstrend – 2025 ist sie geringfügig auf das Niveau von 2023 gestiegen



Quelle: BASG, 2026

Europaweit sinkende Studienzahl

Der Anteil der EU an allen globalen klinischen Studien hat sich zwischen 2013 und 2023 von 18 % auf 9 % reduziert.



Quelle: IQVIA, Assessing the clinical trial ecosystem in Europe, October 2024

Fatale Auswirkung auf Patient:innen

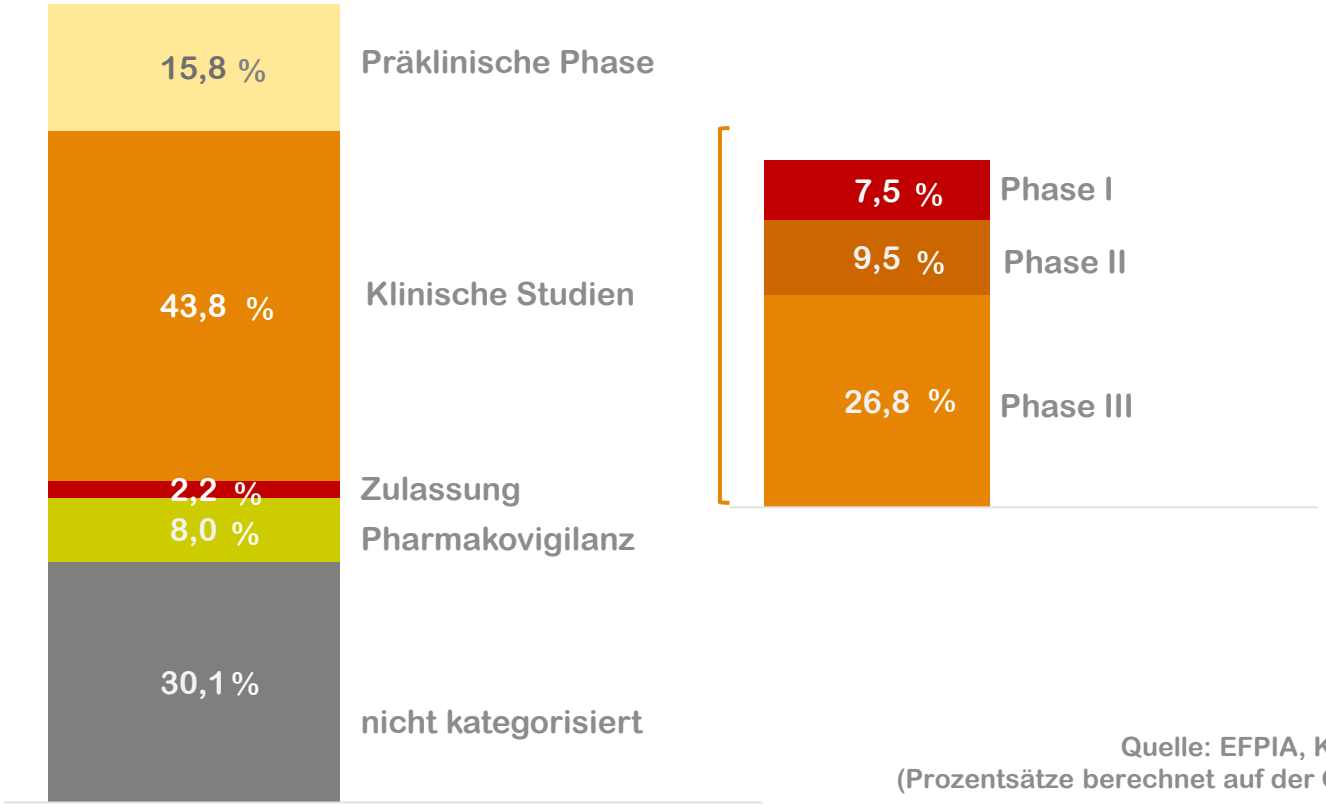


In dieser Zeit hatten 60.000 Patient:innen in Europa nicht die Möglichkeit, an klinischen Studien teilzunehmen.

Quelle: IQVIA, Assessing the clinical trial ecosystem in Europe, October 2024

Klinische Forschung ist wesentlicher Teil der F&E

Fast die Hälfte der F&E-Investitionen entfällt auf klinische Studien.



Quelle: EFPIA, Key Data 2025
(Prozentsätze berechnet auf der Grundlage der Daten von 2023)

Der Wert klinischer Studien

Klinische Studien haben einen **hohen Wert für das Gesundheitssystem** in Österreich:

- sie ermöglichen Patient:innen den **frühen Zugang zu neuesten Entwicklungen,** gewährleisten engmaschige Betreuung und bedeuten letztendlich einen Hoffnungsschimmer
- sie halten und ziehen **Top-Ärzt:innen** an
- sie tragen zur **Ausbildung** der Mediziner:innen bei, da die Befassung mit State-of-the-art-Medizin im Zentrum steht
- sie beleben die **informellen Netzwerke**
- sie bringen dem System **Einsparungen**, da die Medikamente von den forschenden Unternehmen getragen werden
- sie erzielen nachweislich hohe **Wertschöpfung** (1 investierter Euro erzielt 1,95 Euro Wertschöpfung)

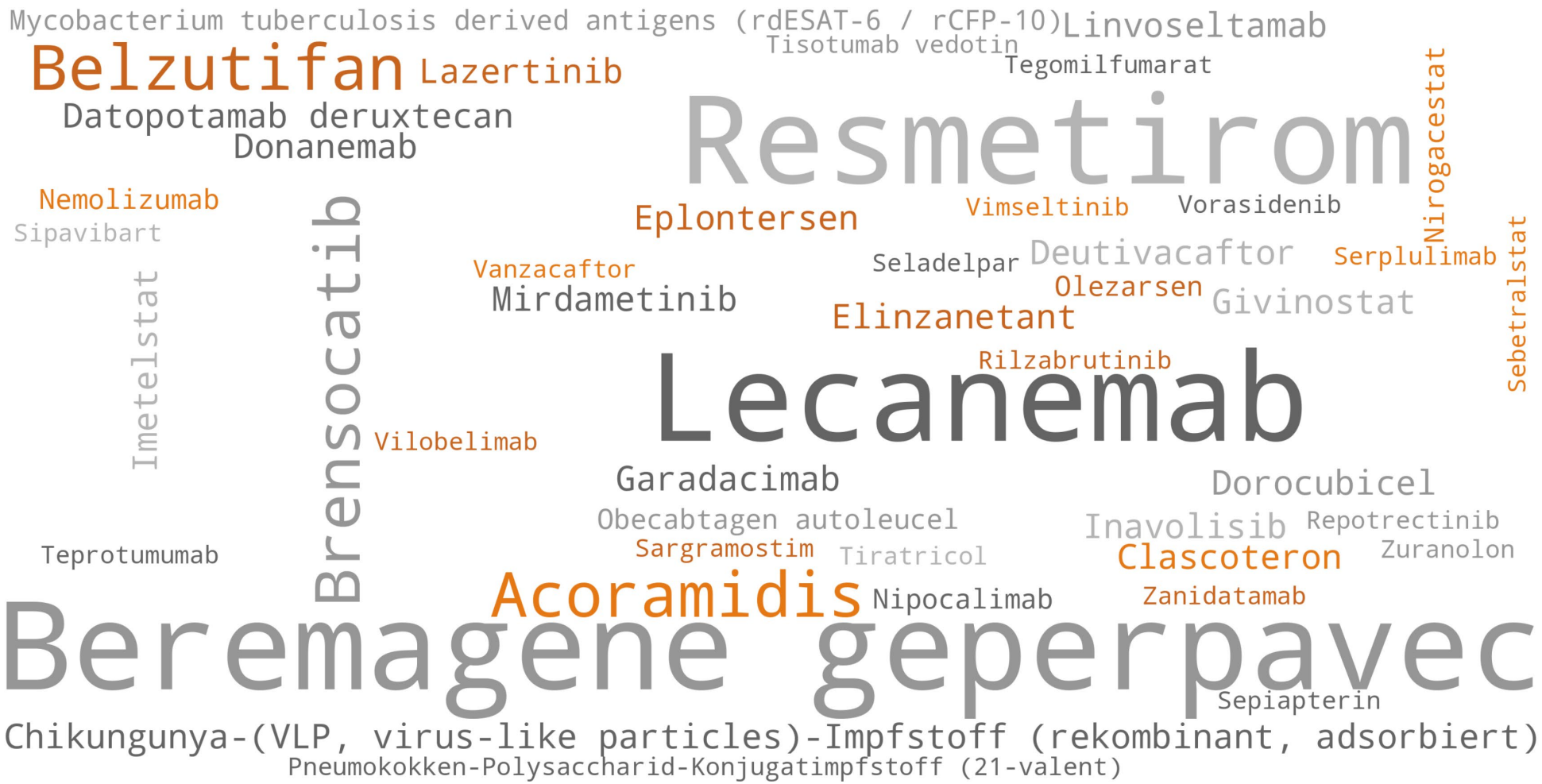
Ergebnis dieser intensiven Forschungs- und Entwicklungsarbeit sind ...



Arzneimittel-Innovationen des Jahres 2025

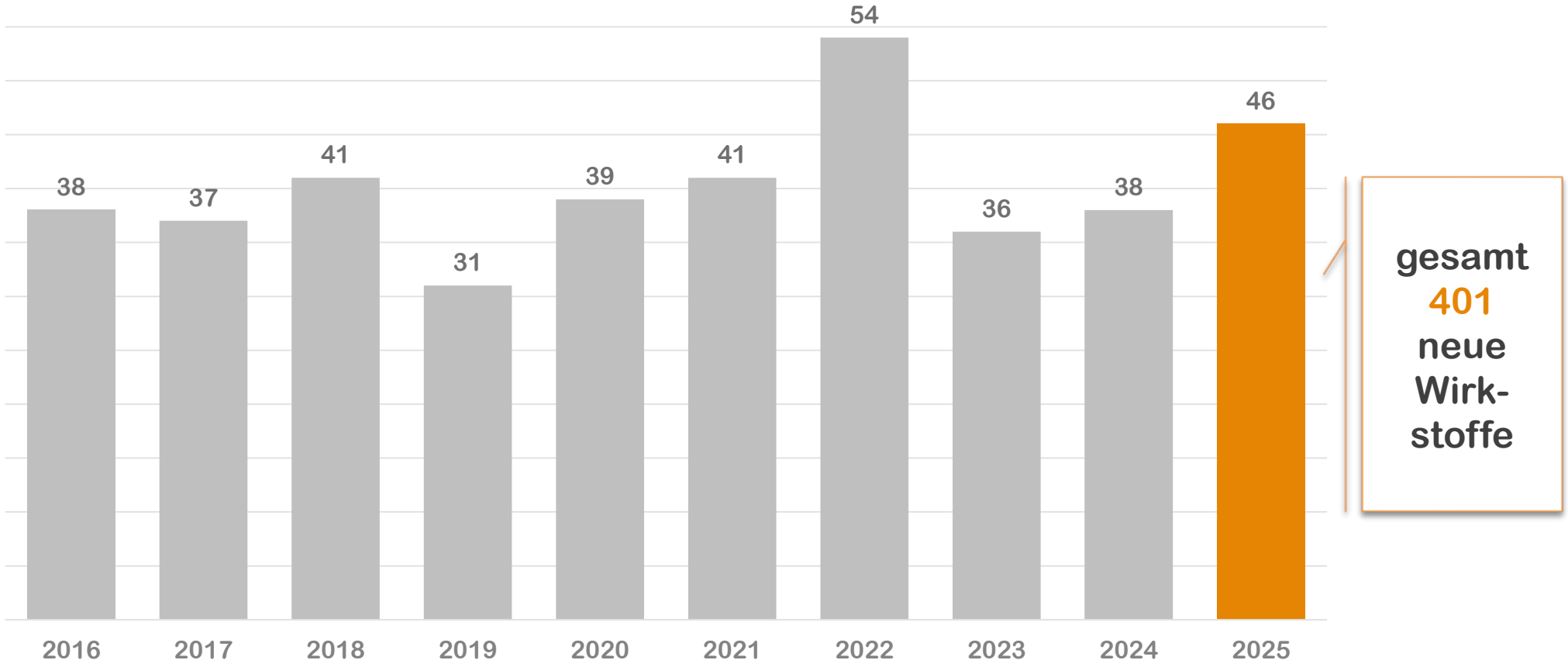
Pressegespräch, 19. Mai 2026

Die Innovationen 2025 – 46 neue Wirkstoffe

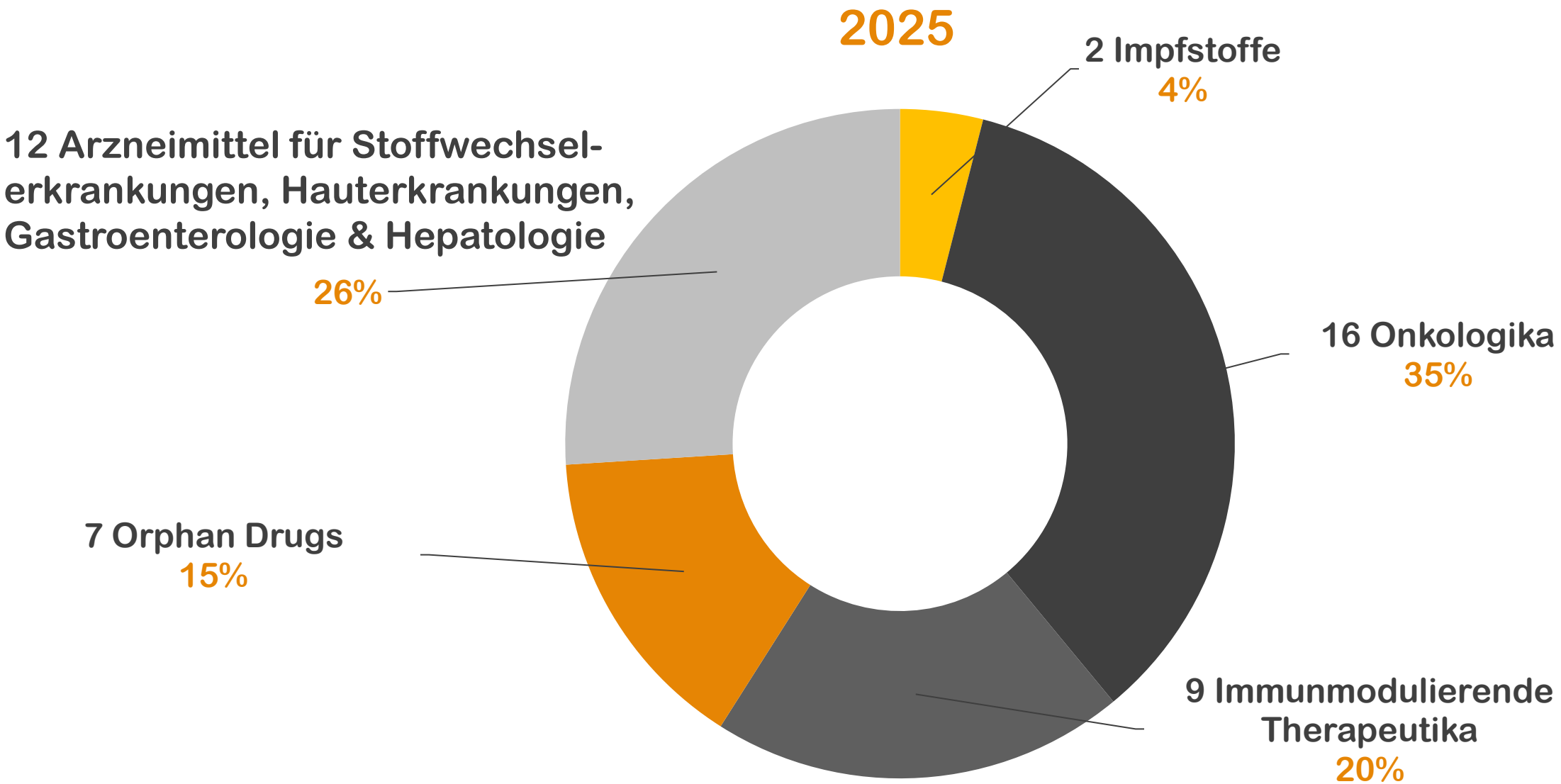


Über 400 innovative Arzneimittel …

… mit neuem Wirkstoff in den letzten 10 Jahren – in Europa und damit auch für Österreich zugelassen!

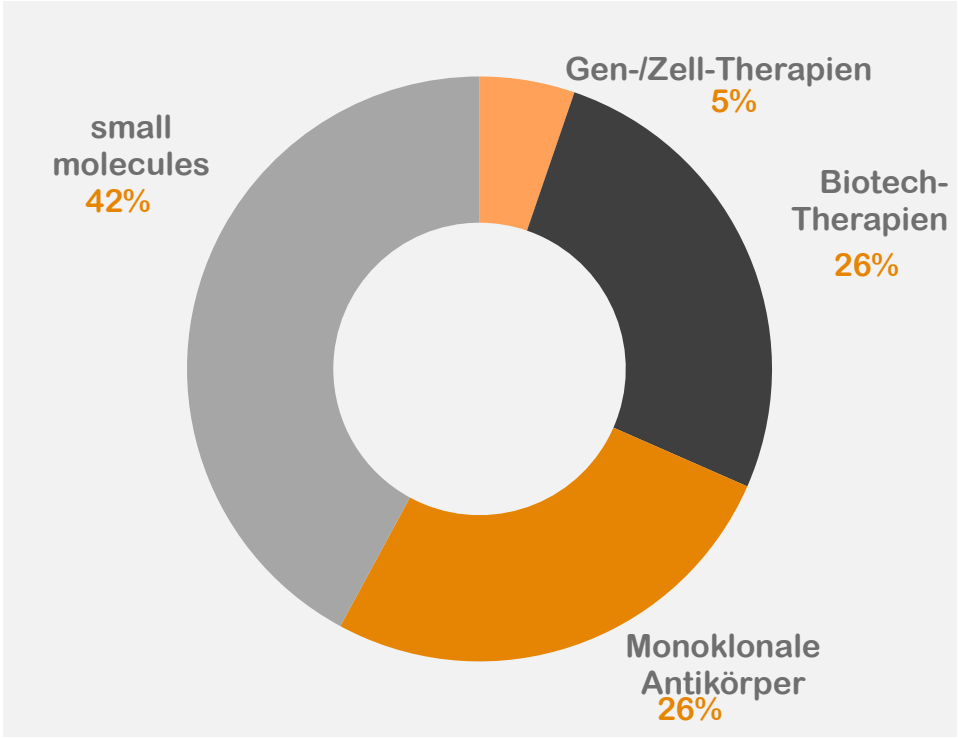


Neue Wirkstoffe nach Klasse

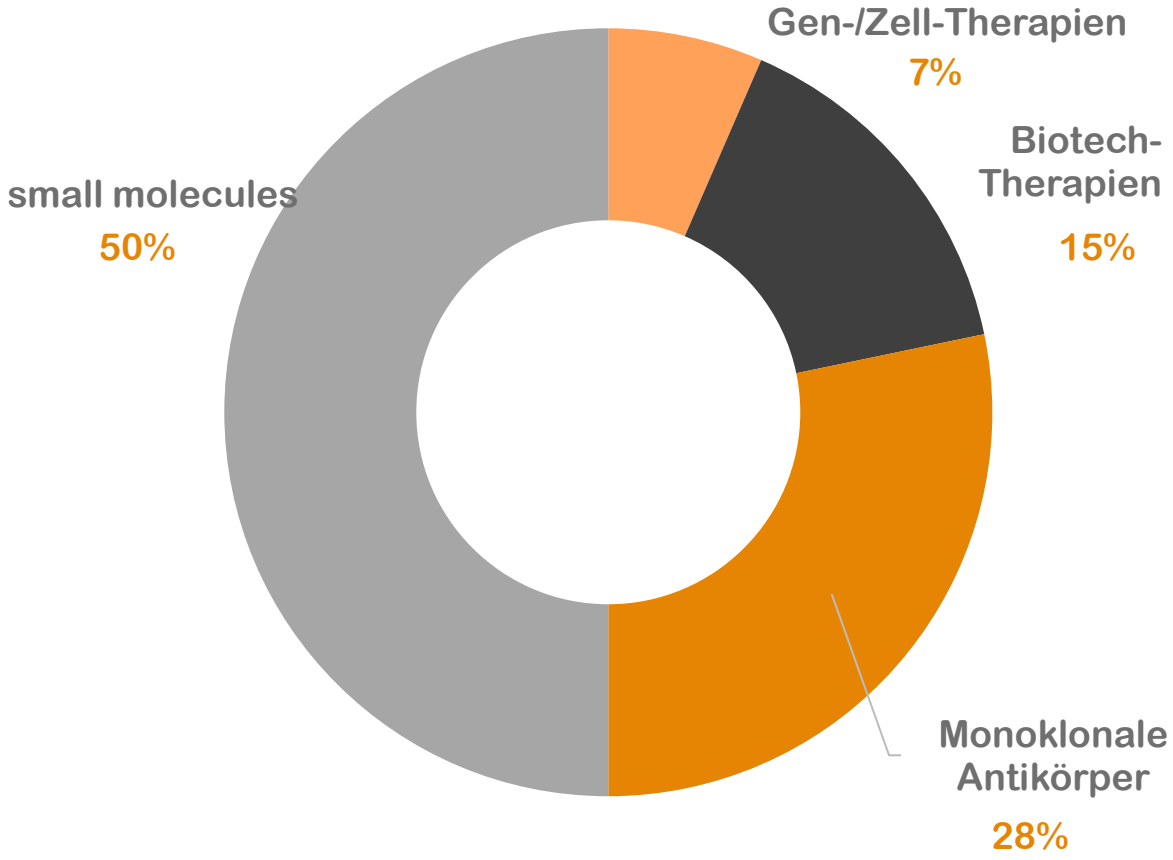


Neue Wirkstoffe nach Kategorie

2024



2025



Vier prägnante Beispiele

Beispielhaft für die Innovationen in 2025 vier Beispiele*:

Beremagene geperpavec:

- Erste Gentherapie für Epidermolysis bullosa (Schmetterlingskinder) – speziell für die „Epidermolysis bullosa dystrophica“ (EBD)
- Innovative Gentherapie – mittels eines Herpes-simplex-Virus-Vektors wird ein funktionsfähiges COL7A1-Gen äußerlich in die Hautzellen eingebracht; dadurch wird erstmals ein funktionsfähiges Kollagen Typ VII produziert, welches bei dieser speziellen Form der Epidermolysis bullosa fehlt
- Gentherapie führt zu einer verbesserten Wundheilung

* Auswahl erfolgte ausschließlich durch die AGES

Vier prägnante Beispiele

Beispielhaft für die Innovationen in 2025 vier Beispiele*:

Lecanemab und Donanemab:

- Die ersten beiden monoklonalen Antikörper gegen die Alzheimer-spezifischen Amyloid-Beta-Ablagerungen im Gehirn
- Für die frühe symptomatische Therapie bei Patient:innen, die ein spezielles Risiko-Gen entweder gar nicht oder nur heterozygot tragen
- Anwendung im Stadium der frühen Alzheimer-Krankheit, sofern eine bestätigte Amyloid-Pathologie vorliegt
- Fortschreiten der Erkrankung kann durch intravenöse Anwendung, einmal alle 2 Wochen bzw. 4 Wochen, verzögert werden

* Auswahl erfolgte ausschließlich durch die AGES

Vier prägnante Beispiele

Beispielhaft für die Innovationen in 2025 vier Beispiele*:

Resmetirom:

- **Innovative neue Behandlung für die relativ häufig vorkommende metabolisch assoziierte Steatohepatitis (MASH, ehemals NASH genannt) mit bereits vorhandener Leberfibrose – erster zugelassener selektiver Agonist am Schilddrüsenhormonrezeptor β, der hauptsächlich in der Leber vorkommt.**
- **Einfache Fettleber (NAFLD) ist bereits häufigste chronische Lebererkrankung (Prävalenz in Europa 20–30 % der Bevölkerung); bei Fortschreiten der Fettleber zur MASH Prävalenz bis zu 4 % der Gesamtbevölkerung; kann ohne Therapie oder bei unzureichender Therapie zur manifesten Leberzirrhose mit hohem Risiko für Leberkrebs (hepatozelluläres Karzinom) führen**
- **Resmetirom verbessert MASH durch Verringerung der Leberentzündung, des Leberfettgehalts sowie einer Verringerung der Leberfibrose**

* Auswahl erfolgte ausschließlich durch die AGES



Österreichs Rolle im europäischen Kontext

© European Union

Pressegespräch, 19. Mai 2026

Österreich auf zweitem Platz im EU-weiten Ranking

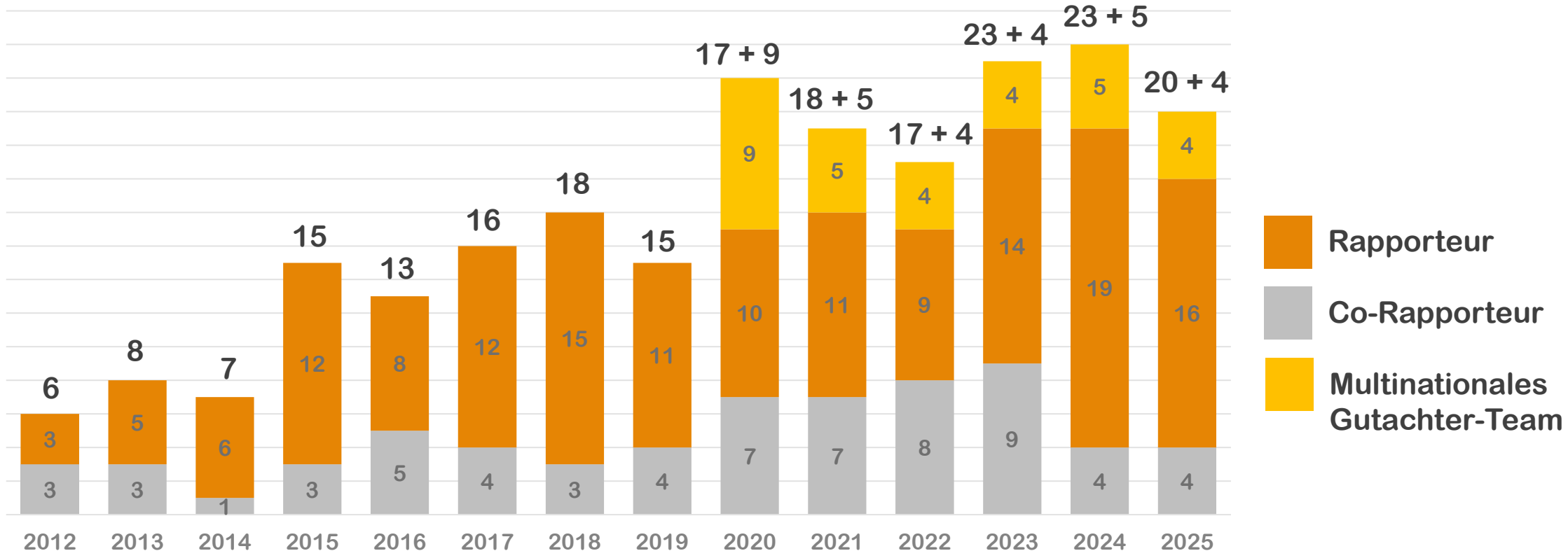
Im europäischen Vergleich rangierte Österreich im Jahr 2024 im EU-Spitzenfeld für zentrale Zulassungsverfahren.



Quelle: EMA Annual Report 2024

Federführende Rolle Österreichs

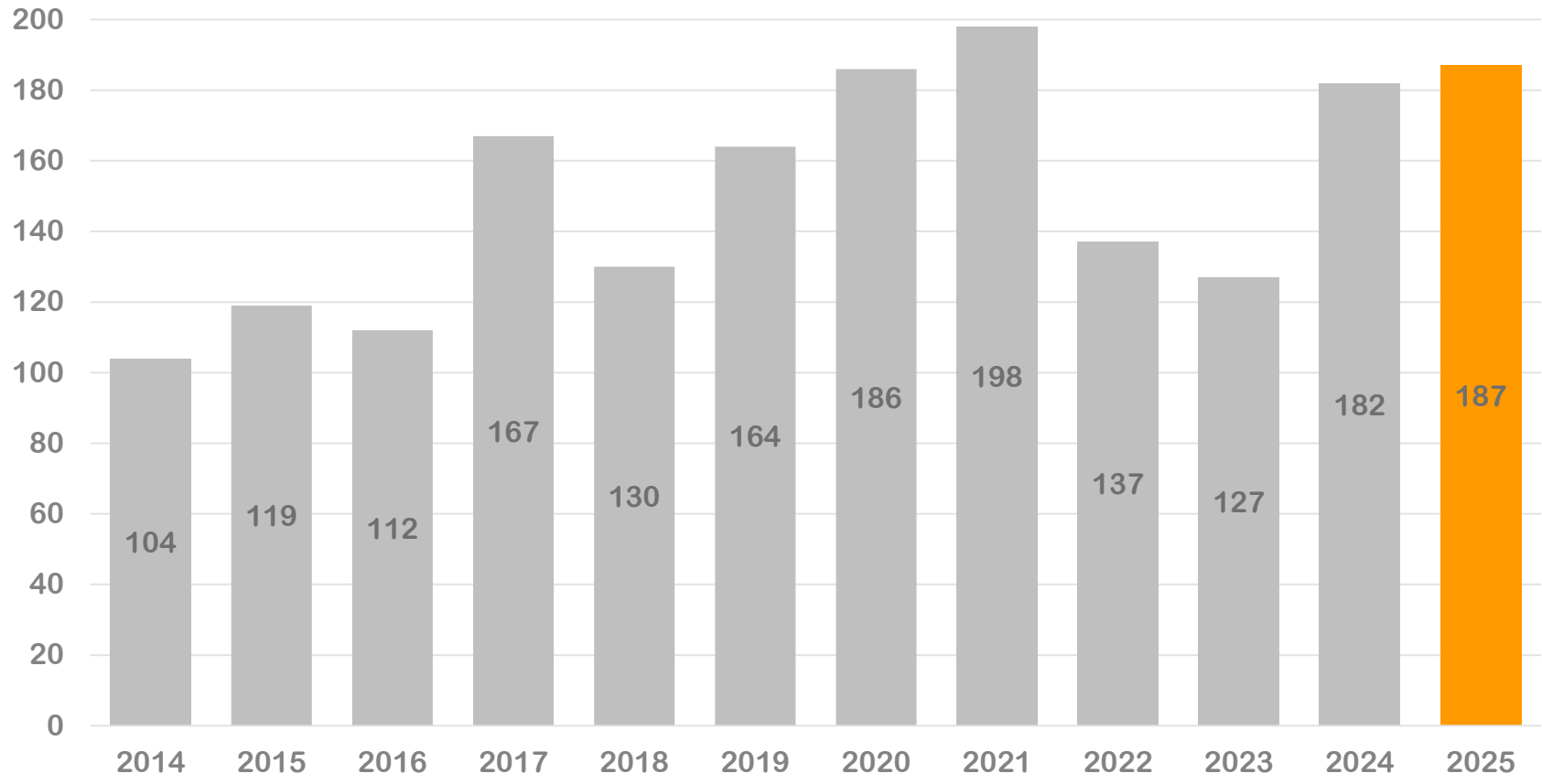
Letztes Jahr erhielt die AGES MEA im zentralen Zulassungsverfahren 20 x als (Co-) Rapporteur und 4x im multinationalen Gutachter-Team den Zuschlag, die Begutachtung vorzunehmen.



Quelle: Daten AGES MEA intern

Bei wissenschaftlicher Beratung auf 1. Platz

Anzahl der von Österreich koordinierten EMA Scientific Advice Verfahren – Österreich an der Spitze im EU-weiten Ranking! (inkl. multinationale Teams)



1. Platz im EU-Ranking

Quelle: Daten AGES MEA intern

FAST-EU: Beschleunigung klinischer Studien in der EU

Facilitating & Accelerating Strategic Trials in EU/EEA · Start: Januar 2026

INITIATIVE

Österreichische Idee, europäische Wirkung

- AGES als Impulsgeber für ein neues CTR-Begutachtungsmodell
- “FAST-EU” als Pilotprojekt zur Evaluierung des Modells
- Systematische Vorbereitung auf die Änderungen durch den künftigen Biotech Act

MECHANISMUS

Schnellere, koordinierte Genehmigung

- **Genehmigung in 70 statt bisher 120 Tagen**
- Straffung durch parallele Workflows
- Ethische & wissenschaftliche Standards bleiben gewahrt
- Gezielte Auswahl relevanter multinationaler Studien
  → “learning exercise”

IMPACT

Vorteile für Industrie & Patient:innen

- Raschere Genehmigung klinischer Prüfungen
- Früherer Zugang zu innovativen Therapien
- Schaffung einer Datengrundlage für EU Policy Decisions
- Förderung der EU als attraktiver Forschungsstandort

FAST-EU ist ein **Meilenstein für die klinische Forschung in der EU** – initiiert von Österreich/AGES als Beitrag zum künftigen Biotech Act.



Assoz.-Prof.in Dr.in med.univ. Michaela Defrancesco, MMSc, PhD

Pressegespräch, 19. Mai 2026

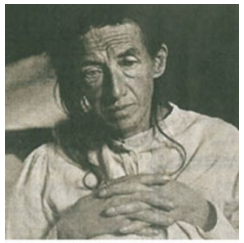
MEDIZINISCHE UNIVERSITÄT INNSBRUCK

Monoklonale Amyloid-Antikörper: Alzheimertherapie mit Lecanemab und Donanemab



Assoz.-Prof. Michaela Defrancesco, MMSc, PhD
Univ.-Klinik für Psychiatrie I, Medizinische Universität Innsbruck
Leiterin Gedächtnissprechstunde

Verlauf der Alzheimer Erkrankung



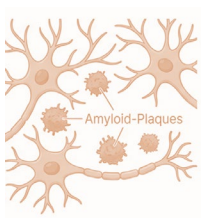
Auguste Deter - taken in 1906, shortly before her death, during her stay at Frankfurt's City Mental Institution.

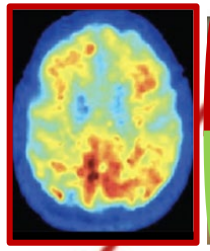


1906
Dr. Alois Alzheimer

Abnormal

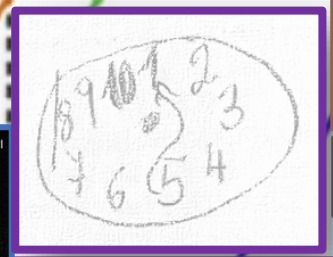
- Amyloid-ß accumulation (CSF/PET)
- Synaptic dysfunction (FDG-PET/fMRI)
- Tau-mediated neuronal injury (CSF)
- Brain structure (volumetric MRI)
- Cognition
- Clinical function

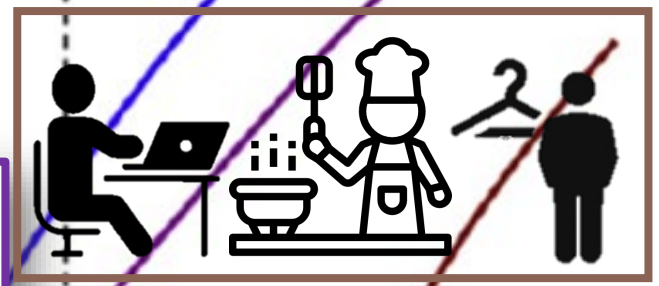












Funktion

Struktur

Tau Pathologie

Amyloid Pathologie

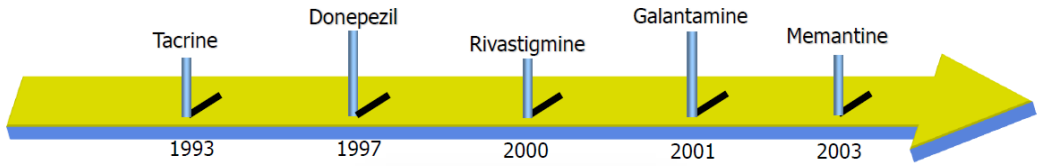


Präklinisches Stadium | Mild Cognitive Impariment | leichte | mittelgradie | schwere Demenz

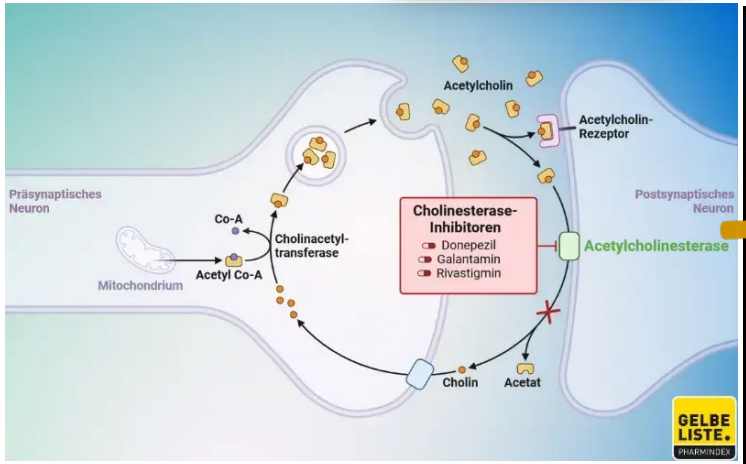
R.A. Sperling et al. / Alzheimer's & Dementia 7 (2011) 280–292

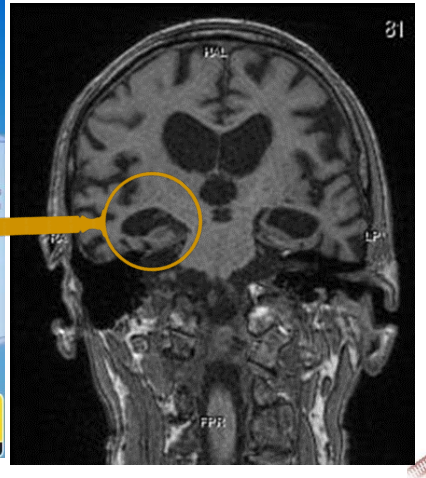
Medikamentöse Therapiestrategien der Alzheimer Erkrankung

Symptomatische Therapie „cognitive enhancer“



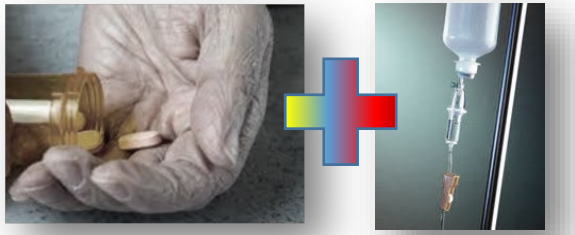






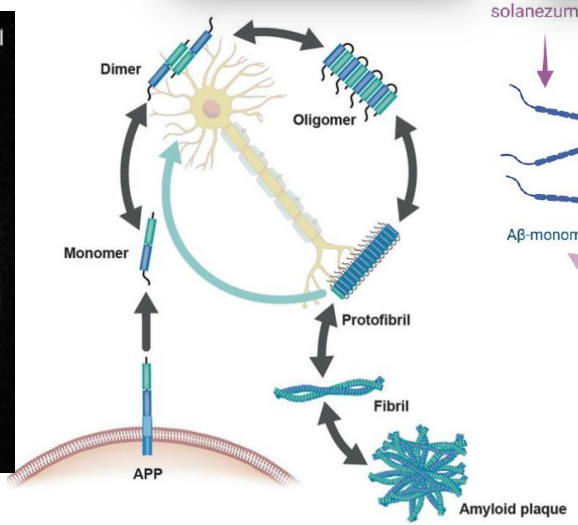
Krankheitsmodifizierende Therapie „disease modifying“

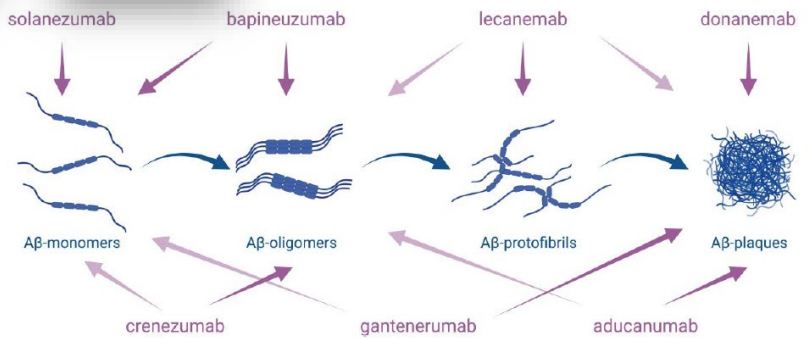
Monoklonale Amyloid-Antikörper



2023 Lecanemab (Lequembi)

2024 Donanemab (Kinsula)



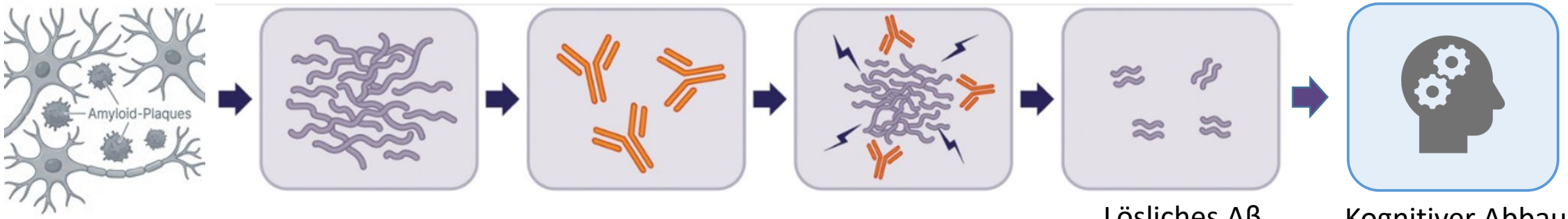


2021 Aducanumab (Aduhelm)

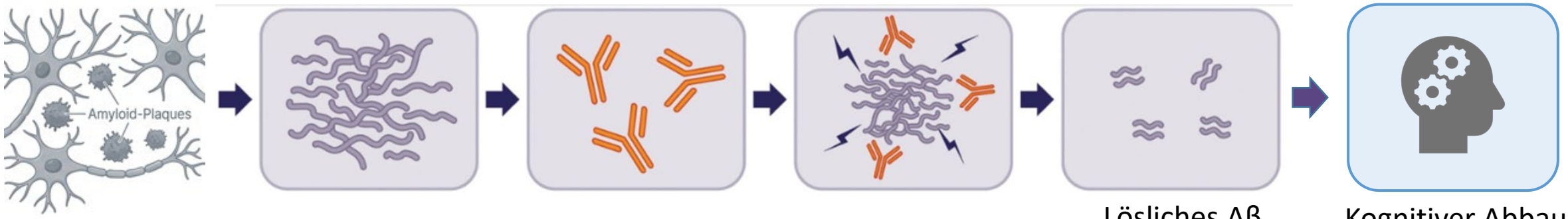
Hampel et al, *Mol Psychiatry* 2021.

Perneczky R et al. *Brain* 2023:146;842-849, Figure 2

Wirkung der Monoklonalen Amyloid Antikörper



Wirkung der Monoklonalen Amyloid Antikörper



Aβ-Plaque

Antikörper Therapie

Lösliches Aβ
wird abtransportiert

Kognitiver Abbau
wird verzögert

Indikation

Frühklinisches Stadium:

- MCI – milde Alzheimer Demenz
- Pos. Amyloidnachweis (PET oder CSF)

Kontraindikationen (z.B.)

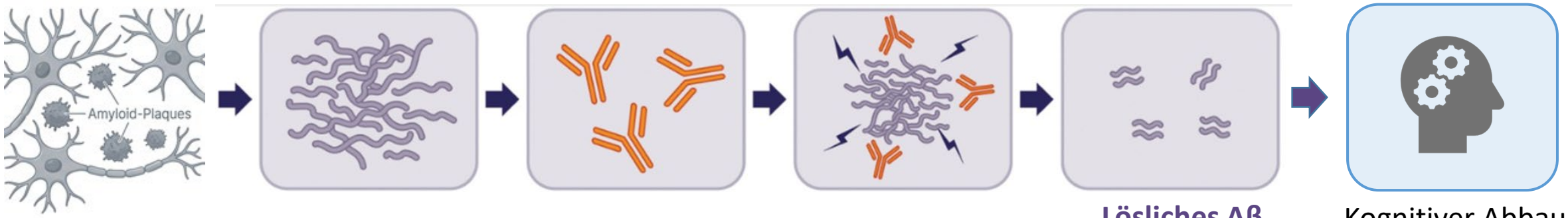
- ApoE ε 4/4
- OAK –Therapie (CAVE: unter AK-Therapie Lyse nicht empfohlen/sehr risikoreich)
- Cerebrale Amyloidangiopathie mit Microbleeds
- …



Lecanamab
2x/Monat

Donanemab
1x/Monat

Wirkung der Monoklonalen Amyloid Antikörper

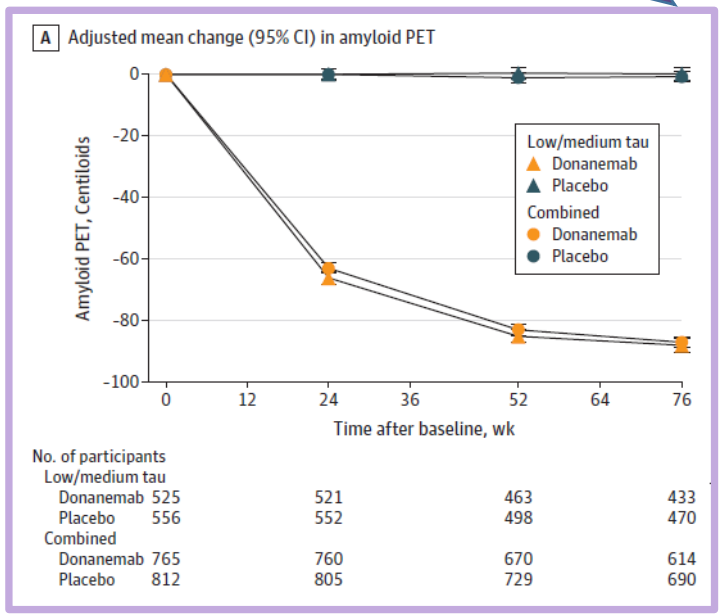


Aβ-Plaque

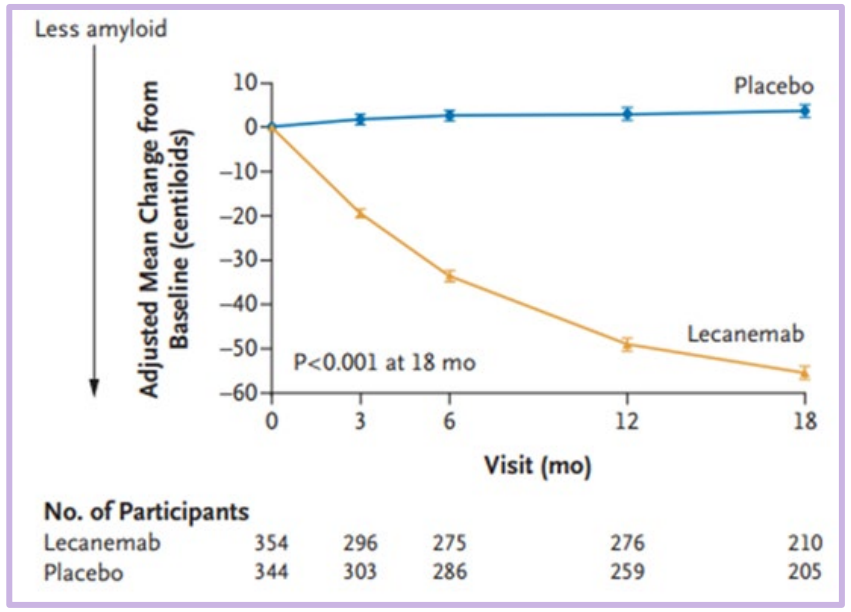
Antikörper Therapie

Lösliches Aβ wird abtransportiert

Kognitiver Abbau wird verzögert

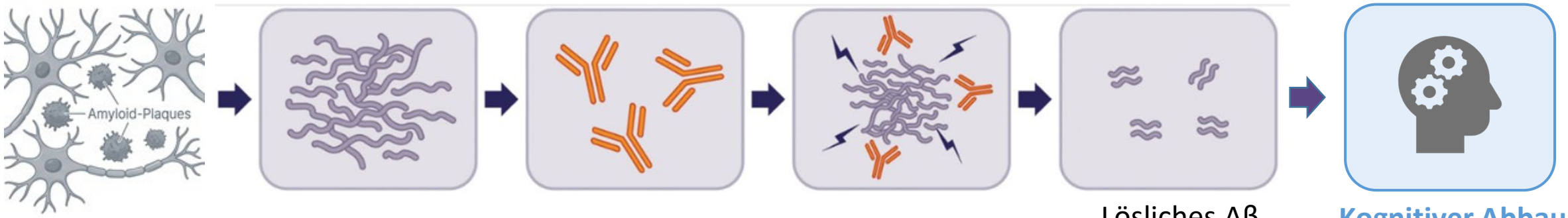


Sims et al 2023



Van Dyck et al 2023

Wirkung der Monoklonalen Amyloid Antikörper

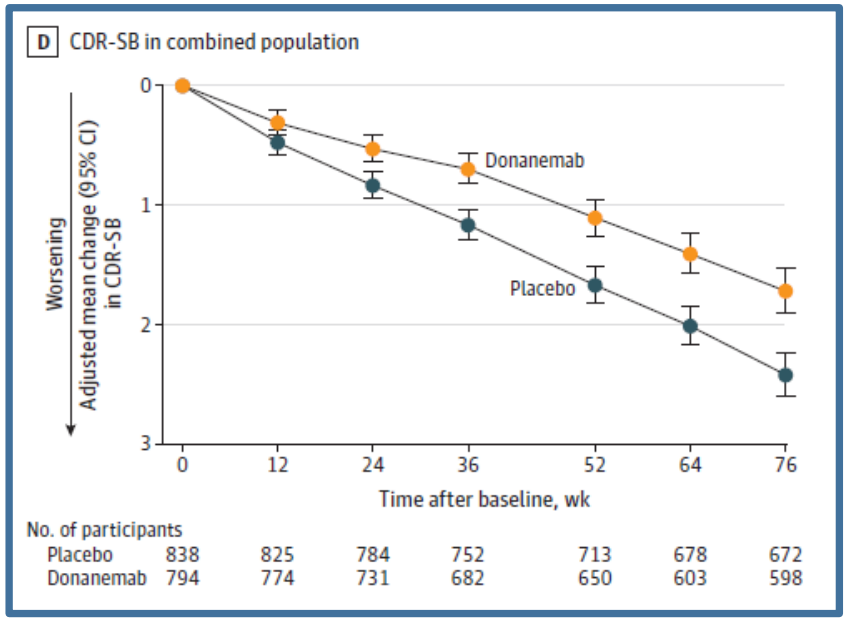


Aβ-Plaque

Antikörper Therapie

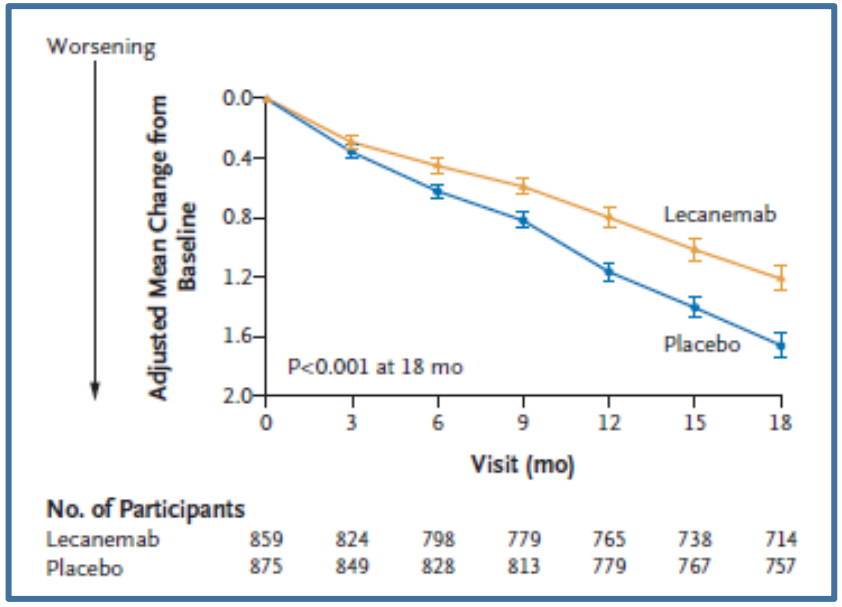
Lösliches Aβ
wird abtransportiert

Kognitiver Abbau wird verzögert



1.7
0.7
2.4

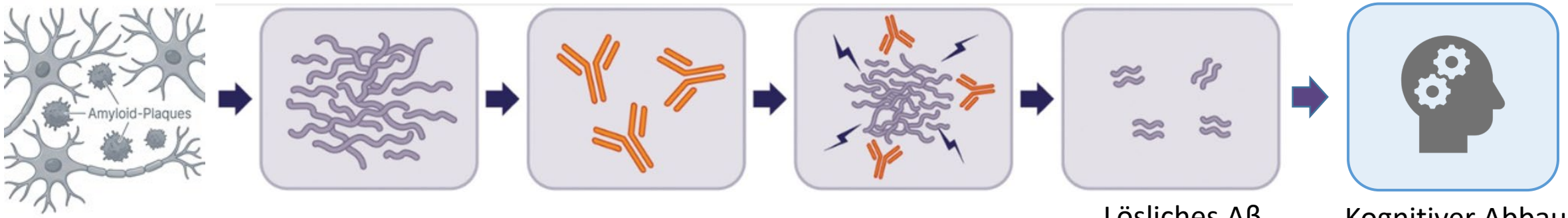
Sims et al 2023



1.21
0.45 (0.53 ohne Apo ε 4/4)
1.66

Van Dyck et al 2023

Nebenwirkungen der Monoklonalen Amyloid Antikörper

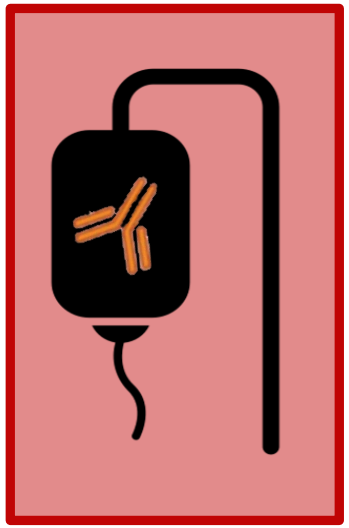


Aβ-Plaque

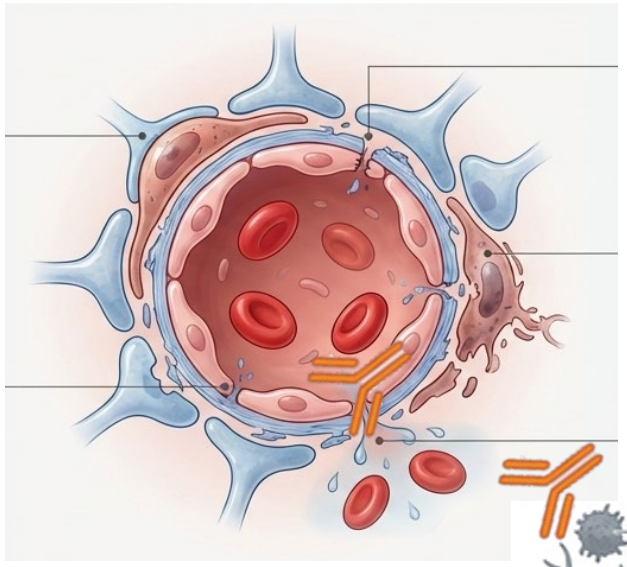
Antikörper Therapie
Nebenwirkungen

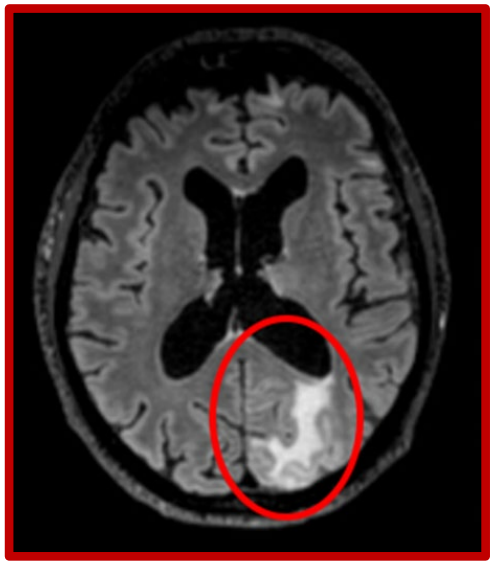
Lösliches Aβ
wird abtransportiert

Kognitiver Abbau
wird verzögert



Infusionsbedingte Reaktionen
30-70% - schwer < 1%







ARIA –E **ARIA-H**
zwischen 9-29% - schwer etwa 1%

Fazit: mögliche Bedeutung der Monoklonalen Amyloid Antikörpertherapie für



Patient:innen

- Neue Chance der Progressionsverzögerung
- Entstigmatisierung der Diagnose „Demenz“
- Verbesserung und Ausweitung der Frühdiagnostik



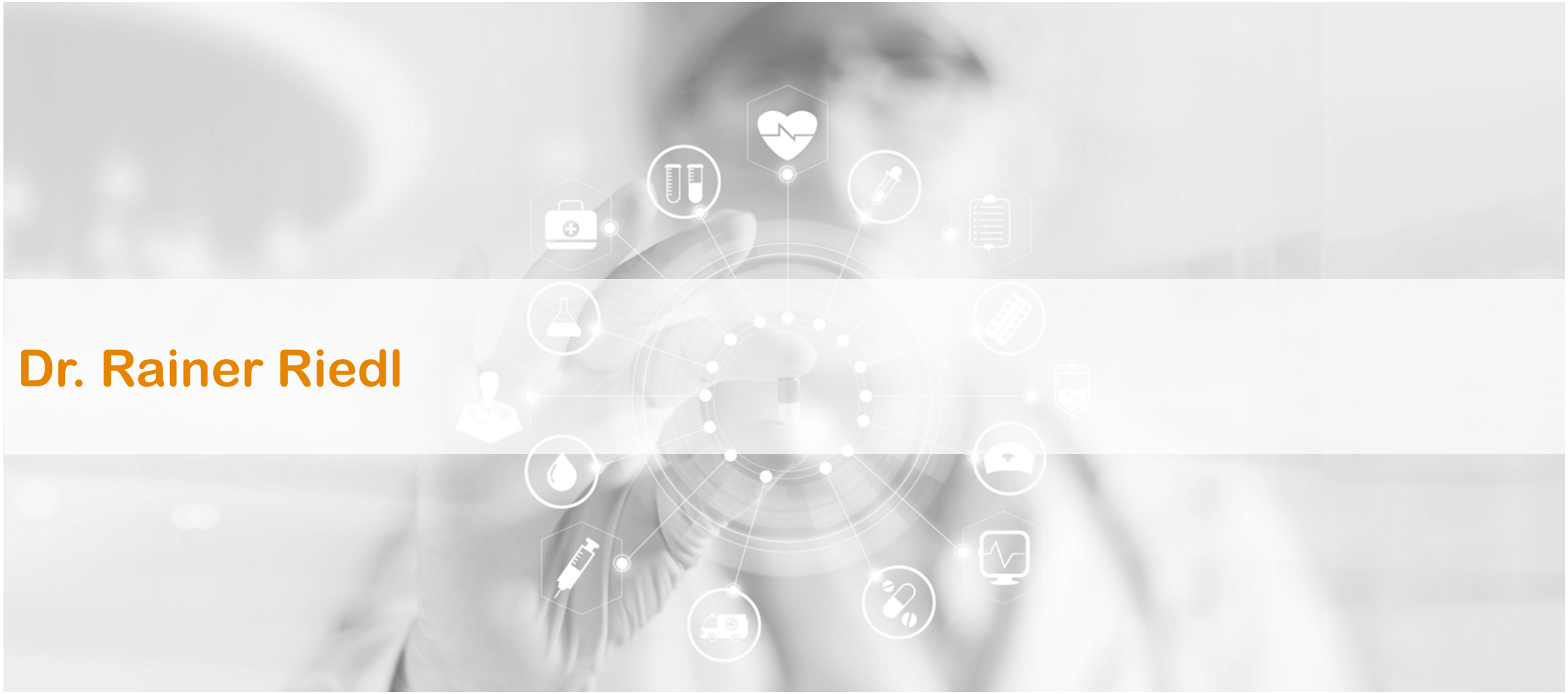
Gesundheitssystem

- Fördert bzw. erfordert den Aufbau einer effizienten interdisziplinären diagnostischen Infrastruktur
- Fördert bzw. erfordert die Einhaltung von Diagnosepfaden
- Längerfristige Reduktion der Betreuungskosten?



Forschung

- Entscheidender Schritt in Richtung Prävention
- Wissenserweiterung in der Biomarkerdiagnostik und Therapie
- Grundlage für weitere Erforschung therapeutischer Strategien (Tau, Neuroinflammation ..)



Dr. Rainer Riedl

Pressegespräch, 19. Mai 2026

DEBRA Austria? Doppeljubiläum!



30 Jahre DEBRA Austria
20 EB-Haus Austria

Was uns antreibt: Epidermolysis bullosa (EB)









EB = große Herausforderung

EB ist eine Multisystemerkrankung, deren Hauptsymptome jedoch **Blasen und Wunden** an Haut und Schleimhäuten sowie damit verbundene chronische Schmerzen sind.

Weitere **Symptome** sind:

- Juckreiz
- Narbenbildung
- Blasen und Wunden in Mund, Augen und an Schleimhäuten
- Verwachsungen von Fingern und Zehen
- schwere Karies, Zahnverlust
- schwerwiegende Ernährungs- und Verdauungsprobleme
- Kleinwuchs,
- körperliche Behinderung
- aggressiver Hautkrebs



Erste Therapien!



Diacerein *



Filsuvez® **



<u>Beremagene geperpavec</u> ***

*) Entwicklung aus dem EB-Haus, internationale klinische Zulassungsstudie läuft
**) Zugelassen, Erstattung gegeben
***) Zugelassen, Erstattung seit einem Jahr ungeklärt

Beremagene geperpavec



Nach Filsuvez das **erste für EB zugelassene Arzneimittel**

- topische Gentherapie, zur Behandlung der
- dystrophen Epidermolysis bullosa (DEB)
- bei Mutationen im **COL7A1-Gen**
- Verabreichung als Gel

Wirkmechanismus („Mode of Action“):

➢ funktionierende Kopien des defekten Gens werden direkt in Hautzellen eingebracht

Genetischer Defekt / viraler Vektor



- Dystrophe Epidermolysis bullosa: **COL7A1-Gen** ist mutiert

- Zu wenig oder kein funktionsfähiges **Kollagen Typ VII (COL7)** wird gebildet
- Dieses Protein ist essenziell für die **Anchoring Fibrils**, die Epidermis und Dermis mechanisch miteinander verbinden
- Fehlt COL7, ist die Haut extrem fragil und bildet Blasen sowie chronische Wunden

- **Transportmittel:** genetisch modifizierter, replikationsdefizienten **Herpes-simplex-Virus Typ 1-Vektor**, kann sich nicht weiter vermehren
- Trägt funktionelle Kopien des menschlichen **COL7A1-Gens**

Applikation/Kollagen-VII/Ankerfibrillen



- Gel wird auf offene Hautwunden aufgetragen: HSV-1-Vektor infiziert lokal vor allem:
  - Keratinozyten
  - Fibroblasten

  Diese Zellen nehmen das therapeutische Gen auf.
- Nach Eintritt in die Zelle gelangt das Vektor-Genom in den Zellkern, dort wird das eingeführte **COL7A1-Gen** transkribiert und anschließend das funktionelle **Kollagen-VII-Protein** produziert.
- Virale Genom integriert sich nicht dauerhaft in das menschliche Genom.
- Neu gebildete Kollagen VII organisiert sich zu **Anchoring Fibrils**, welche die Verbindung zwischen Epidermis und Dermis stabilisieren
- So verbessert sich die strukturelle Integrität der Haut

FDA-/EMA-Zulassung ja – Erstattung nein!



- 05/2025: EMA-Zulassung
- 10/2025: Vyjuvek wird vom EB-Haus (Expertisezentrum) verordnet: Sozialversicherungen und Spitalsfinanzierung fühlen sich nicht zuständig
- 12/2025: Brief an Gesundheitsministerin, Staatssekretärin sowie sämtliche Landeshauptpersonen bleibt mehr oder weniger unbeantwortet
- 03/2026: Vyjuvek wird vom EB-Haus (Expertisezentrum) verordnet: Sozialversicherungen fühlen sich nach wie vor nicht zuständig
- 05/2026: Vyjuvek wird in den EKO aufgenommen

➢ **seit einem Jahr warten Patient:innen** auf die Erstattung

DEBRA Austria finanziert Forschung

Der „medical Need“ bei EB ist enorm

- Seit 2005 im EB-Haus Austria
  - bis 2024 in der Forschungseinheit
  - seit 2025 im EB Research Institute
- Seit 2010 auch international
  - primär akademische Forschung
  - Universitäten: USA, UK, EU, Österreich
- im Umfang von vielen Millionen Euro
- rein aus Spenden

➢ DEBRA Austria ist seit 20 Jahren ein verlässlicher Förderer der EB-Forschung



Wo besteht Handlungsbedarf?

Pressegespräch, 19. Mai 2026

Europe has a choice to make

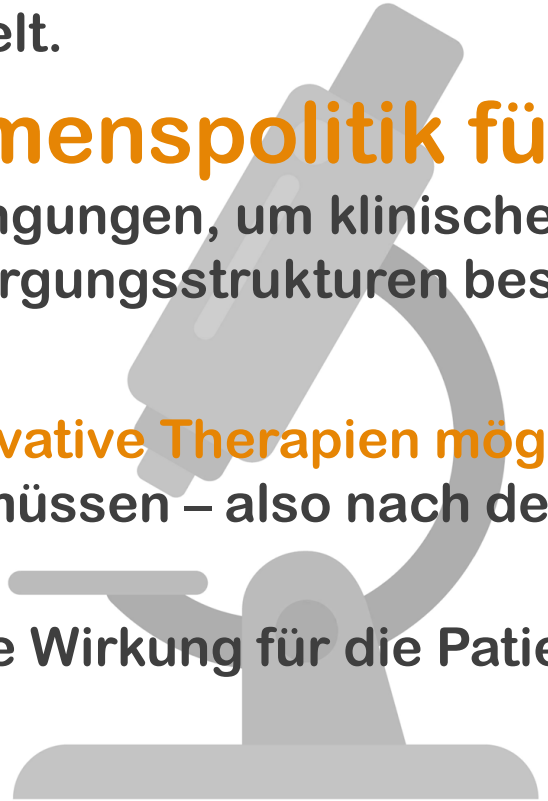
Es steht viel auf dem Spiel:

- Weltweit sind die Ausgaben für Forschung und Entwicklung in den zehn Jahren von 2012 bis 2022 um fast 60 % gestiegen.
- Im Jahr 2024 investierte die Branche 55 Mrd. € in die europäische Forschung und Entwicklung.
- 44 % davon flossen in klinische Studien.
- Die Branche sichert 2,6 Millionen Arbeitsplätze in der gesamten Region.
- Der Anteil innovativer Arzneimittel, die vollständig auf den öffentlichen Erstattungslisten in Europa aufgeführt sind, ist von 42 % im Jahr 2019 auf nur noch 29 % im Jahr 2024 gesunken.

Auch Österreich muss diese Entscheidung treffen

Österreich steht auch im Bereich der Forschung in einem Wettbewerb mit anderen Ländern und Regionen der Welt.

Es braucht eine **Willkommenspolitik für Forschung** und Innovation sowie adäquate Rahmenbedingungen, um klinische Forschung in Österreich zu halten und in die bestehenden Versorgungsstrukturen bestmöglich zu integrieren.



Das bedeutet auch, dass innovative Therapien möglichst rasch Patient:innen zugänglich gemacht werden müssen – also nach der Zulassung schnell den Weg in die Erstattung finden.

Denn nur dann können sie ihre Wirkung für die Patient:innen entfalten.

Life-Science- und Pharma-Strategie für Österreich

Damit Patient:innen in Österreich auch in Zukunft von innovativen Therapien profitieren können, sind vier Punkte entscheidend:



Markt- und Versorgungszugang beschleunigen



Klinische Forschung stärken



Angewandte Forschung, Entwicklung und Produktion sichern



Gesundheitsdaten sinnvoll und sicher nutzen

Arzneimittel-Innovationen 2025

Eine Bilanz von AGES und FOPI

Pressegespräch der Österreichischen Agentur für Gesundheit und Ernährungssicherheit (AGES) und des Forums der forschenden pharmazeutischen Industrie in Österreich (FOPI)

Wien, 19. Mai 2026