

Menschen mit seltenen Erkrankungen – Nicht mehr Waisenkinder der Medizin?

Menschen mit seltenen Erkrankungen – Nicht mehr Waisenkinder der Medizin?

In Lehrbüchern werden Sie seltene Erkrankungen kaum unter „Wichtige Krankheiten“ erwähnt finden. Im Blickwinkel dieser medizinischen Autoren ist „selten“ gleichbedeutend mit „nicht wichtig“. Seltene Erkrankungen lagen bis April 2000 auch nicht im Blickfeld der Pharma-Industrie. Patienten mit einer chronischen Erkrankung, von der in Europa höchstens einer von 2000 betroffen ist, werden nicht unzutreffend „Stiefkinder oder Waisen der Medizin“ (engl. orphans) genannt.

Überraschend: Waisen gesucht von „Stief-Firmen“

Seit April 2000 sind seltene Erkrankungen (nicht vorrangig die Menschen mit diesen Erkrankungen) für die Pharma-Industrie so „wichtig“ geworden, dass man systematisch nach ihnen „screent“.

EU-Belohnung für Stief-Firmen

Vor nunmehr 11 Jahren waren auf europäischer Ebene Regelungen geschaffen worden, die Pharma-Firmen wirtschaftliche Anreize bieten, Medikamente auch für kleine Patientengruppen zu **entwickeln**.

Gut gemeinte EU-Regelung

Die „Belohnung“ dieser – wie wohl vorausgesetzt wurde forschenden – Firmen besteht in einem vereinfachten Zulassungsverfahren, dem Erlass von Zulassungsgebühren und 10 Jahren Marktexklusivität (Alleinvermarktungsrecht) des Arzneimittels, das sie erforscht und zur Anwendungsreife entwickelt haben. Diese Firmen brauchen zudem keinen Zusatznutzen für die Behandlung eines Patienten mit diesem Produkt nachzuweisen, um einen firmenseits frei und beliebig festgesetzten Preis zu rechtfertigen (Ansonsten ab 2011 Vorschrift).

Die Pharma-Industrie hat in ihre Regelungen Schlupflöcher (Plural) eingebaut, welche zulassen, dass der Sinn der EU-Regelungen legal missachtet und sogar zu Ungunsten des Patienten genutzt werden kann.

Waisen, die nicht einmal Stiefkinder werden können

Extrem seltene Erkrankungen, für die bis-

her kein Mittel zur Behandlung gefunden wurde, werden weiterhin verwaist bleiben.

Krankheiten für das EU-Schlupfloch: Beispiel Brustkrebs:

Erfüllt eine Gewinn versprechende Erkrankung nicht das Kriterium „selten“, so „fragmentiert“ man sie in mehrere „Erkrankungsbilder“. Für diese Varianten ein und derselben Erkrankung kann jeweils gesondert die Zulassung unter erleichterten Bedingungen erfolgen, vollkommen legal.

Gerade noch passend für das EU-Schlupfloch:

Man fahndet nach seltenen Erkrankungen mit möglichst so vielen Mitgliedern, dass sie gerade noch in diese Kategorie fallen.

Die EU bietet auch ein Schlupfloch für Firmen, die keine eigenen Studien vorweisen können.

Unter den von den Pharma-Unternehmen ausgewählten Erkrankungen guckt man sich jene aus, die – wie das Lambert-Eaton (Myasthenische) Syndrom - schon gut erforscht sind und bei denen sich die Wirksamkeit eines Mittels zur Behandlung – bereits hinreichend für eine erleichterte Zulassung – in Studien erwiesen hat.

Unter diesen Voraussetzungen erwies sich 3,4-Diaminopyridin zur symptomatischen Behandlung des Lambert-Eaton-Syndrom als wirtschaftlich profitabel für mehrere Pharma-Unternehmen hintereinander.

Zur Linderung der Muskelschwäche der autoimmun bedingten neuromuskulären Übertragungsstörung „Lambert-Eaton-Syndrom“ hat sich seit Jahrzehnten die äußerst preiswerte Chemikalie 3,4-Diaminopyridin (Preis 50 bis 60 Euro für 1000mg) als effektiv erwiesen und war in Studien bestätigt worden. Die Erkrankung selbst gilt als die am gründlichsten erforschte Transmissionsstörung.

Kurz vor der Jahreswende 2009/2010 erfolgte die Zulassung von 3,4-DAP (Wirkstoff Amifampridin) auf europäischer Ebene. Das damit verbundene Alleinvertriebsrecht für die nächsten 10 Jahre erwarb die amerikanische Firma BioMarin für eine hohe Millionensumme von einem anderen Pharma-Unternehmen, das ih-

rerseits...aber das ist eine gesondert zu berichtende Schlupfloch-Sache.

Die Original-Packung „Firdapse™“ mit 100 Tabletten 10 mg kostet rund **2.900 Euro**. Die gleiche Menge war bisher und ist noch als Individual-Rezeptur (Kapseln) für **200 Euro** zu haben. Zuvor war 3,4-DAP für etwa denselben günstigen Preis auch als Tablette aus England (mit „Special License“ und Sicherheitszertifikat) verfügbar.

Vorgeschichte bis zur Zulassung von 3,4-DAP:

Ende 2002 gab die EMEA (später umbenannt in EMA) die Designation von 3,4-DAP als Orphan-Drug zur Behandlung des Lambert-Eaton-Syndrom bekannt. Antragstellerin und Inhaberin der daraus resultierenden Rechte war die „Agence Générale des Equipements et produits de santé - Etablissement Pharmaceutique des Hôpitaux de Paris“ (AGEPS - EPHP), France.

AGEPS-EPHP ist immer noch Herstellerin der Tabletten. Die Rechte gingen 2006 an Firma OPi über (OPi gründete EUSA exklusiv für den Vertrieb von 3,4-DAP unter dem Namen «Nelsyn») - danach erfolgte der Transfer zur Firma Huxley, die bot 3,4-DAP als «Zenas» an. (Ein Statin namens Zenas war vor Jahren vom Markt genommen worden).

Danach übernahm BioMarin das Geschäft mit „Zenas“, änderte aber später den Namen in Firdapse.

„Nelsyn“ und „Zenas“ kosteten rund 300 Euro, Firdapse™ kostet fast 3.000 Euro und stellt damit im Verhältnis zur Individualrezeptur (z. B. als in der Apotheke befüllte Kapsel) eine Verteuerung um den Faktor 70 dar. Deshalb werden von Ärzten weiterhin auch die preisgünstigen Kapseln verordnet.

Selbst wenn die zugelassenen (überteuerten) 10mg-Tabletten bevorzugt werden, sind zusätzlich 5mg-Kapseln für die Arzneimittelsicherheit günstiger, wenn es um Einzeldosen von 5mg oder 15mg geht, weil die Teilung der Tabletten nur in zwei ungleiche Hälften möglich scheint.

Prof. Wolf-Dieter Ludwig, Chef der Arzneimittelkommission der Deut-

schen. Ärzteschaft, bewertete im Report Mainz am 21. März 2011 (als Video im Netz beim swr und bei youtube zu finden) die Preissteigerung im Fall Firdapse™ als skandalös.:

»Durch die Verfügbarkeit des Fertigarzneimittels hat sich der Preis um den Faktor 40-70, also in der Größenordnung von etwa 1.000 Euro Jahrestherapiekosten auf 50.000 Euro Jahrestherapiekosten verteuert, dies ist sicherlich skandalös.«

Im selben Beitrag bewertete der Gesundheitsökonom Gerd Glaeske die Preis-Politik der Firma BioMarin als „asozial“ und sagt allgemein voraus:

»Man wird sich um die seltenen Krankheiten kümmern, die einen guten Profit versprechen und gleichzeitig die Vorteile, auch die Profitmaximierungsvorteile, dann in Anspruch nehmen. Man wird sich weniger um die kümmern, wo man tatsächlich es mit Krankheiten zu tun hat, an denen wenige hundert Menschen leiden, die werden wahrscheinlich im Moment aus Profitmaximierungsaspekten bei der Pharmaindustrie durch den Rost fallen.«

Als Beispiel für diejenigen, um die sich wahrscheinlich auch weiterhin keine Pharma-Firma schert, wurden in der Sendung Report Mainz, neben der Patientin mit dem „wirtschaftlich profitablen Lambert-Eaton-Syndrom“, zwei Brüder im Alter von 5 und 8 Jahren mit der genetisch bedingten Muskeldystrophie „Duchenne“ vorgestellt. Bisher ist kein Wirkstoff bekannt, der das Fortschreiten der Muskelschwäche aufhalten würde.

In England haben 20 bekannte Klinikärzte in einem Brief an den Premierminister gegen die Preispolitik von BioMarin protestiert. Sie beklagen, dass sie angesichts ihres knappen Budgets jeweils überlegen müssen, ob sie einem LEMS-Patienten Firdapse™ verschreiben sollten, wenn damit gleichzeitig zwei Patienten die Dialyse-Behandlung verweigert werden müsse.

Anzuprangern ist nicht nur die Firma BioMarin. Wieso darf die Europäische Zulassungsbehörde erlauben, dass der Preis eines Arzneimittels durch An- und Ver-

kauf der unter günstigen Bedingungen erworbenen Rechte an einem Arzneimittel in nicht verantwortbare Höhen getrieben wird? Dass der hilfsbedürftige Mensch zum Spekulationsobjekt wird, dessen „Wert“ an der Aktienbörse abzulesen ist?

Ob die „biegsame“ Abfassung der Orphan-Drug-Regelungen die Pharma-Industrie überzeugt hat, dass der Chef der EU-Zulassungsbehörde „ihr Mann“ werden muss? Jedenfalls gab er seine Position in der EU-Behörde auf zugunsten eines Beraterposters bei der Pharmaindustrie.

Freya Matthiessen
Postfach 2229, 37012 Göttingen
www.lems-mg.de,
www.lambert-eaton-myasthenisches-syndrom.de
freya-matthiessen@t-online.de
Literatur zum Thema kann bei mir erfragt werden.

