

# Afamelanotid bleibt in Deutschland verfügbar!

Das mit (An)Spannung erwartete Ergebnis der Wiederbewertung von Afamelanotid zur Behandlung der EPP durch den Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA) ist letzte Woche veröffentlicht worden. Die gute Nachricht: Afamelanotid wird auch weiterhin in Deutschland verfügbar bleiben! [1]

Es bleiben jedoch einige ungelöste Aspekte:

Noch immer gibt es zu wenige Behandlungsplätze in den 4 Behandlungszentren Berlin, Chemnitz, Düsseldorf und Mainz, so dass eine kleine Anzahl Patientinnen und Patienten weiterhin keinen Zugang zur Therapie mit Afamelanotid hat. Einige Betroffene fahren immer noch alle zwei Monate zur Behandlung in die Schweiz, meist auf eigene Kosten. Für die meisten Patienten, die in Deutschland einen Zugang zur Behandlung haben, bedeutet dies ebenso weite Wege, eigene Kostenübernahme z.T. auch für die Übernachtung, Einsatz von Freizeit oder sogar Urlaubstagen. All diese Bedingungen liegen an der im Jahr 2016 erteilten Zulassung durch die EMA; die die Behandlung aus Sicherheitsgründen nur in zertifizierten Zentren zulässt.

Zudem wurden für die Wiederbewertung keine neuen Daten zur Wirksamkeit und Sicherheit für die Beurteilung durch den G-BA zugezogen, die Gründe hierfür sind nicht klar. Alle Langzeiteffekte z.B. auf die Lebensqualität oder die neu beschriebene Schutzwirkung auf die Leber sind damit nicht in die Bewertung mit eingeflossen (s. Links am Ende des Beitrags). Studien aus den Niederlanden und der Schweiz zeigen, dass sich die Betroffenen unter Therapie im Durchschnitt (Median) drei Stunden am direkten Sonnenlicht aufhalten können ohne phototoxische Verbrennungen zu erleiden ....diese wurden nicht berücksichtigt und führt dazu, dass der Nutzen dieser hochwirksamen Therapie mit lebensverändernden Auswirkungen wieder als „nicht quantifizierbar“ beurteilt wurde, wie schon bei der Bewertung 2016 als noch weniger Daten vorlagen.

Medikamente für seltene Krankheiten werden derzeit wieder stark öffentlich kritisiert. [2]

Ein Kritikpunkt dabei ist, dass sich die Wirksamkeit selbst nach vielen Jahren im Gebrauch nicht nachweisen lassen würde. Die Beurteilung der Wirksamkeit im Fall von Afamelanotid zeigt jedoch, wie wichtig es ist, bei solchen pauschalen Aussagen die Details wie es zu den entsprechenden Einschätzungen kam, genau zu kennen.

[1] Nutzenbewertung nach § 35a SGB V. Nutzenbewertungsverfahren zum Wirkstoff Afamelanotid (Neubewertung nach Fristablauf: Erythropoetische Protoporphyrinurie). G-BA 1 Juli 2021:

<https://www.g-ba.de/bewertungsverfahren/nutzenbewertung/636/> (letzter Zugriff: 31 Januar 2022)

[2] Orphan Drugs: Privileg des „fiktiven“ Zusatznutzens nicht gerechtfertigt. IQWiG 12. Januar 2022:

[https://www.iqwig.de/presse/pressemitteilungen/pressemitteilungen-detailseite\\_58496.html](https://www.iqwig.de/presse/pressemitteilungen/pressemitteilungen-detailseite_58496.html)  
(letzter Zugriff: 31. Januar 2022)

Link zur Petition „Licht für Alle - Therapie für die seltene Lichtkrankheit EPP“:

<https://www.change.org/p/licht-f%C3%BCr-alle-therapie-f%C3%BCr-die-seltene-lichtkrankheit-epp-endlich-zug%C3%A4nglich-machen/u/30158484>

Neue in Fachzeitschriften veröffentlichte Studien zur Wirksamkeit und Sicherheit von Afamelanotid bei EPP:

Barman-Aksözen, J., Nydegger, M., Schneider-Yin, X., & Minder, A. E. (2020). Increased phototoxic burn tolerance time and quality of life in patients with erythropoietic protoporphyria treated with afamelanotide—a three years observational study. *Orphanet journal of rare diseases*, 15(1), 1-8.

<https://ojrd.biomedcentral.com/articles/10.1186/s13023-020-01505-6>

Wensink, D., Wagenmakers, M. A., Barman-Aksözen, J., Friesema, E. C., Wilson, J. P., van Rosmalen, J., & Langendonk, J. G. (2020). Association of afamelanotide with improved outcomes in patients with erythropoietic protoporphyria in clinical practice. *JAMA dermatology*, 156(5), 570-575.

<https://jamanetwork.com/journals/jamadermatology/article-abstract/2762869>

Minder, A. E., Barman-Aksoezen, J., Schmid, M., Minder, E. I., Zulewski, H., Minder, C. E., & Schneider-Yin, X. (2021). Beyond pigmentation: signs of liver protection during afamelanotide treatment in Swiss patients with erythropoietic protoporphyria, an observational study. *Therapeutic Advances in Rare Disease*, 2, 26330040211065453.

<https://journals.sagepub.com/doi/full/10.1177/26330040211065453>