



Elke Hauke/ 1. Vorsitzende Selbsthilfe EPP e. V. vorstand@epp-deutschland.de

18. November 2016

Sehr geehrter Herr Staatssekretär Laumann

Wir Patienten mit der ultra-seltenen Stoffwechselkrankheit Erythropoetische Protoporphyrinurie (EPP) möchten hiermit eine Beschwerde einreichen in Bezug auf die fehlende Zugänglichkeit des seit 2014 zugelassenen orphan drug Afamelanotid (Scenesse®), der einzigen Therapie für diese mit extremen Verbrennungsschmerzen verbundenen Lichtkrankheit.

Die Behandlungszentren in Düsseldorf, Berlin und Chemnitz werden mit nicht nachvollziehbaren Hürden an der Behandlung gehindert:

- Die Ethikkommission der Universitätsklinik Düsseldorf schätze Auflagen der EMA als rechtlich bedenklich ein. Patienten werden gezwungen, grosse Datenmengen zu sammeln: Nur zum Nachweis der Wirksamkeit sind dies über 4000 Datenpunkte im Jahr, u.a. mittels 8 Wochen Tagebucheinträgen alle 15 Minuten. Das Zentrum in Berlin ist aktuell mit ähnlichen Problemen konfrontiert. Das BfArM stellte die Hauptrapporteure beim Zulassungsprozess auf EU-Ebene: Mitarbeiter einer deutschen Behörde erlassen also Auflagen, die deutsche Ethikkommissionen als nicht vereinbar mit deutschem Recht beurteilen.
- Die Patienten sollen laut Uniklinik Düsseldorf Nachweise ihrer Krankenkassen über die komplette Vergütung der Kosten vorlegen, um die Behandlung zu erhalten. Die allermeisten Kassen stellen ein solches Schreiben aber nicht aus, da Scenesse® als zugelassenes orphan drug regulär und voll erstattungspflichtig ist. Patienten, die von ihren Kassen trotzdem eine solche Bestätigung erhalten haben, können wegen weiterer „bürokratischer Hürden“ in den Zentren nicht behandelt werden.
- Im Behandlungszentrum Düsseldorf werden nur vereinzelt Termine vergeben, viele Patienten erhalten auf ihre Anfragen keine Antworten bzw. vereinzelt die Mitteilung, dass sie bis Frühjahr / Sommer 2017 warten müssen. Wir gehen davon aus, dass mangelnde personelle Ressourcen Ursache dafür sind, denn aus der guten Zusammenarbeit mit dem Team der Porphyrinurieabteilung wissen wir den Einsatz der Ärzte überaus zu schätzen: Die Behandlungszentren müssen jedoch einen enormen Aufwand betreiben um Daten zum Nachweis der Wirksamkeit zu erfassen, obwohl die EMA selbst im Zulassungsprozess diese Daten als nicht aussagekräftig zum Nachweis der Wirksamkeit beurteilt hat. Die Auflage, diese Daten trotzdem zu sammeln, bindet also unnötigerweise enorme personelle Ressourcen. (Bitte beachten: Daten zur Sicherheit werden zusätzlich gesammelt und hier nicht in Frage gestellt).
- Vertreter des G-BA und der B-AG reagierten schon im Sommer mit Unverständnis und Ungläubigkeit sowohl auf die Verzögerung, als auch auf die enormen post-marketing Auflagen bezüglich Wirksamkeitsnachweis (Menge und wissenschaftliche Fragwürdigkeit). Einen solch absurden Fall kennt man in Deutschland von keinem anderen orphan drug.

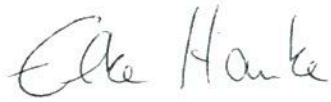
Wir fragen uns: Gibt es andere Motivationen, den Zugang zu der einzigen Therapie zu verweigern? Sollte irgendeine der beteiligten Institutionen Zweifel über die Notwendigkeit einer Behandlung bei EPP haben, laden wir sie gerne zu einem Gespräch mit Patienten und medizinischen Experten auf dem Gebiet ein.

Wir möchten jetzt konkrete Antworten und Abklärungen von Seiten der Behörden und Behandlungszentren, in die wir als Vertreter der Deutschen EPP-Patienten aktiv mit einbezogen werden – wir akzeptieren keine weiteren Beschwichtigungen und Verzögerungen mehr und behalten uns rechtliche Schritte sowie öffentliche Proteste vor, sollte die Behandlung aller Patienten in Deutschland nicht zeitnah gesichert sein.

Zu unserer Problematik der Nichtbehandlung haben wir Sie schon vor der Zulassung im März 2014, sowie nach der Zulassung und Markteinführung in Deutschland im April und Mai dieses Jahres schriftlich kontaktiert und die 1. Vorsitzende hat auch dazu ein Telefonat mit Ihrer Mitarbeiterin Fr. Anne Wittchen geführt.

Bitte teilen Sie uns mit, wie Ihre Sicht als Patientenbeauftragter der Bundesregierung dazu ist und inwiefern unsere Angelegenheit in Ihr Aufgabengebiet fällt. Wenn dem nicht so ist, an welche Stellen wir unseren Protest richten können.

Mit freundlichen Grüßen

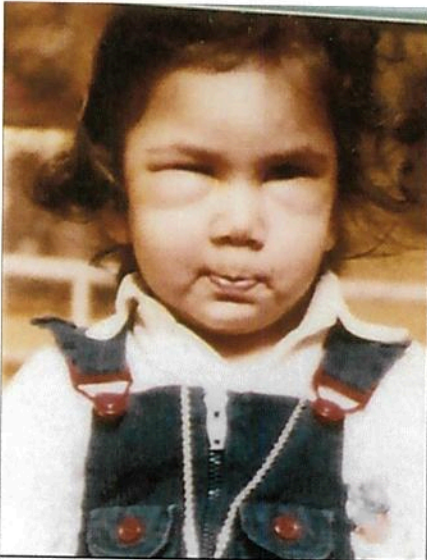


Elke Hauke/ 1. Vorstand EPP e. V.



Dr. Jasmin Barman-Aksözen/ Wissenschaftlicher Beirat EPP e.V.

Beispielbilder EPP:



Arun Barman



Selbsthilfe EPP e.V.



04.09.2015 Bild online, G. Eisenrieder



MoPo, 04.07.2015, Elena Matera



Transhelvetica 11/12 2015, H. und B. Sigg