



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

**Zentrale Ethikkommission
Geschäftsstelle bei der Bundesärztekammer
Herbert-Lewin-Platz 1
10623 Berlin**

**An die
Mitglieder der Zentralen Ethikkommission bei der Bundesärztekammer**

**Sehr geehrter Hr. Prof. Dr. phil. Dr. h.c. Dieter Birnbacher,
Sehr geehrter Hr. Prof. Dr. med. Wolfram Henn,
Sehr geehrte Fr. PD Dr. med. Dipl. Soz. Tanja Krones,
Sehr geehrter Hr. Prof. Dr. jur. Jochen Taupitz,
Sehr geehrte Fr. Prof. Dr. med. Claudia Wiesemann**

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 der Verwaltung der 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 Porphyrieabteilung 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).

- Nach der Bekanntgabe des Beschlusses zu dem Medikament haben die Preisverhandlungen zwischen PU und dem Dachverband der Krankenkassen längst begonnen. Wie wird es sich auf diese Verhandlungen auswirken, wenn keine Behandlung stattfindet? Im Kurzschluss evtl. als ein nicht notwendiges Medikament?
- Da ich als 1. Vorstand der EPP e.V. als Patientenvertreterin bei den Beratungen im G-BA von Juni – August akkreditiert war, konnte ich dort registrieren, dass Vertreter des G-BA und der B-AG 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. Vergleichbare Erfahrungen konnten wir auf internationalen Kongressen machen.

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 seit März 2014, sowie nach der Zulassung und Markteinführung in Deutschland im Januar und Mai dieses Jahres immer wieder Politiker, Verbände und Behörden kontaktiert, doch bisher keine zielführenden Informationen oder Unterstützung erhalten. Auch haben wir auf europäischer Ebene bei der EMA Gespräche geführt – noch ist keine patientenorientierte Behandlung gestartet

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

Mit freundlichen Grüßen

Overath und Zürich den 18.11.2016

Elke Hauke/ 1. Vorstand EPP e. V.

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