

Muna Tatari

Herzlichen Dank für den eindrucksvollen Vortrag, Frau Kemkes-Matthes. Ich bin sicher, dass interessierte Zuhörende wie ich ihn sehr gut verstehen konnten. Sie haben ihn so gut aufbereitet.

Ich mache es kurz, damit wir möglichst viel Zeit für Diskussion haben, und gebe Ihnen, lieber Herr Kruip, das Wort.

Stephan Kruip · Mitglied des Deutschen Ethikrates; Mukoviszidose e. V., München

(Folie 1)

Vielen Dank, sehr geehrte Damen und Herren, ich bin Physiker, und als Physiker halte ich es mit Richard Feynman, der gesagt hat: Wenn ich mich um komplexe Themen bemühen will, dann brauche ich Beispiele. –

(Folie 2)

Er hat geschrieben: „Wenn mir jemand ein mathematisches Theorem erklärt, das ich verstehen will, brauche ich ein Beispiel. Ich prüfe die Bedingungen des Theorems an dem Beispiel und dann ist es nicht so schwierig, wie es aussieht.“

(Folie 3)

Also die Einladung, sich ein weiteres Beispiel anzuschauen, und zwar die Mukoviszidose. Ich lebe mit Mukoviszidose, eine seltene Krankheit, mehr als 8000 Patienten in Deutschland. Jedes Jahr kommen damit ungefähr 150 bis 200 Kinder zur Welt.

Die Störung des Salz- und Wasserhaushalts bei dieser Erkrankung verursacht ein zähflüssiges Sekret, das Organe wie die Lunge und die Bauchspeicheldrüse irreparabel schädigt.

Bis jetzt musste man eine mehrstündige tägliche Therapie machen: Inhalieren von Antibiotika und Kochsalzlösungen, intravenöse Antibiotika, En-

zymersatz beim Essen, dreimal am Tag Atemtherapie zur Reinigung der Lunge, und Sport drei bis vier Stunden am Tag.

Die Lebenserwartung ist dabei von wenigen Jahren (als ich geboren wurde, lag die Lebenserwartung bei acht Jahren) auf jetzt durchschnittlich 55 Jahre gestiegen, wie wir aus unserem Patientenregister wissen, das der Verein betreibt. Ich bin 57 Jahre alt, bin also in dieser Hinsicht meiner Zeit ein bisschen voraus.

(Folie 4)

Der Fehler liegt auf dem 7. Chromosom. Da ist ein Gen, das für ein Protein kodiert, das für den Salztransport durch die Zellmembran zuständig ist. Das ist im ganzen Körper, aber wesentlich in der Lunge und in der Bauchspeicheldrüse tätig, aber auch in den Schweißdrüsen. In den Schweißdrüsen der Haut wirkt es invers. Es saugt also das Salz aus dem Schweiß zurück, damit der Körper nicht so viel Elektrolyte verliert. Bei Mukoviszidose funktioniert das nicht. Wenn ich Sport treibe, sieht meine Hand so aus: Ich verliere mehrere Gramm Salz pro Stunde.

Der Genfehler bewirkt bei ungefähr 80 Prozent der Patienten, dass sich dieses Protein nicht richtig entfaltet, und bei den restlichen wird das Protein gar nicht hergestellt. Ein wichtiger Unterschied, auf den wir noch kommen.

Gentherapie funktioniert in der Zellkultur, aber bisher nicht am Patienten.

(Folie 5)

Darauf gehe ich nicht weiter ein, aber es gibt eine faszinierende Geschichte, die mit der amerikanischen Mukoviszidose-Stiftung zu tun hat. Die Eltern haben nach dem Misserfolg der Gentherapie Spenden gesammelt, um Moleküle zu finden, die diese Entfaltung ermöglichen. Sie haben 225 Millionen Dollar Spenden gesammelt über 20 Jahre

und haben damit Spezialfirmen beauftragt, Forschung zu machen, per Hochdurchsatz-Screening nach Molekülen zu suchen, die die Entfaltung des Proteins ermöglichen. Wer das nachlesen will: ein Medizin-Thriller, der sehr lesenswert ist, *Breath from Salt*.

(Folie 6)

Tatsächlich hat man nach ungefähr 20 Jahren Moleküle gefunden, die dazu in der Lage sind. Die sind sehr komplex (hier ist eins abgebildet) und das Medikament, über das wir reden, Kaftrio, ist eine Kombination von drei Molekülen, die eine etwas unterschiedliche Wirkung haben und sich kombinieren.

(Folie 7)

Man diagnostiziert die Mukoviszidose auch heute noch anhand des Salzgehaltes im Schweiß. Da wird so eine Patrone aufgesetzt und der Schweiß aufgesaugt und dann geguckt, wie viel Salz drin ist. Bei über 60 Millimol pro Liter hat man Mukoviszidose. Unter 30 ist man gesund, und dazwischen ist man in einem Graubereich.

Ich hab im Februar 2021 mit der Therapie begonnen und war bei 90, also tiefrote Mukoviszidose, und bin inzwischen, nach einem halben Jahr, bei 38 angekommen, also nahe am gesunden Bereich. Das entspricht so auch meinem Gefühl.

(Folie 8)

Allein eine solche Tagung heute, wo ich früher vor dem Frühstück anderthalb Stunden Therapie gemacht habe und beim Aufsetzen eines Headsets einen Schweißausbruch bekam, weil ich ungefähr die Hälfte meiner Gehirnleistung darauf verwendet habe, nicht husten zu müssen, zeigt, was das für einen Unterschied für mich bedeutet.

Tatsächlich wird geschädigtes Gewebe nicht repariert. Ich werde meinen Diabetes also behalten und brauche weiterhin Verdauungsenzyme, weil

die Bauchspeicheldrüse nicht funktioniert. Lungenschädigungen bleiben auch erhalten, aber die Patienten berichten uns durch die Bank sehr positive Auswirkungen auf ihre Gesundheit und Lebensqualität. Da fallen Sätze wie: „Ich huste gar nicht mehr“, „meine Lungenfunktion hat sich verdoppelt“, „beim Aufwachen fühlt sich meine Lunge nicht verklebt an“, „ich brauche nicht mehr drei bis vier Stunden Therapie machen“. Also ein unbezahlbarer Zusatznutzen. Es sind drei unscheinbare Tabletten, die man jeden Tag schlucken muss.

(Folie 9)

Aber unbezahlbar ist auch der Preis. Die grauen Balken sind die Zahl der Patienten, die in Frage kommen, das Medikament zu nehmen, weil es eine Zulassung gibt. Es erweitert sich über die Jahre, weil mehr Mutationen eingeschlossen werden (also andere Patienten mit unterschiedlichen Mutationen) und die Altersgrenze herabgesetzt wird. Farbig sind die Patienten, die das Medikament schon nehmen. Man sieht eine sehr starke Steigerung, und das hat sich in den letzten zwei Jahren sehr weiterentwickelt, sodass wir davon ausgehen, dass demnächst ungefähr 80 Prozent der Patienten das Medikament nehmen.

(Folie 10)

Wie gesagt, auch der Preis unbezahlbar. Ich bin Privatpatient, und deswegen steht auf meinem Kassenzettel, der wirklich original ist, 60.000 Euro für ein Quartal. Die drei Tabletten kosten nämlich 700 Euro pro Tag, das heißt, 21.000 Euro im Monat oder ein Auto. Die Zahl 21.000 merken Sie sich bitte, die brauchen wir nämlich noch. Jahrestherapienkosten sind demnach 250.000 Euro, und man muss es lebenslang nehmen. Wenn ich also 70 Jahre alt werde und ich hätte es von Geburt angenommen, dann würde sich das auf 17

Millionen addieren, wenn der Preis so bliebe, was natürlich nicht wahrscheinlich ist.

Aber wenn 80 Prozent dieser Patienten das Medikament nehmen, dann sind das Krankenkassenkosten von über einer Milliarde pro Jahr, und wenn man weiß, dass die patentgeschützten Medikamente insgesamt der gesetzlichen Krankenversicherung 25 Milliarden ausmachen, dann sieht man, was das für eine zusätzliche Belastung ist, und das ist nur eine Erkrankung und es sind nur 6000 Patienten.

(Folie 11)

Weltweit sieht das ganz anders aus. Es wird geschätzt, dass wir 160.000 Mukoviszidose-Patienten weltweit haben, von denen aber nur zwei Drittel überhaupt diagnostiziert sind, weil in vielen Ländern gar nicht danach gesucht wird.

Sie sehen hier die Flächenfarben: Je dunkler, umso mehr Patienten sind da diagnostiziert. Die Farben der Ländernamen sind rot, wenn es erstattet wird, und schwarz, wenn es nicht erstattet wird.

Man schätzt in wissenschaftlichen Studien, dass im Moment nur 12 Prozent der Mukoviszidose-Patienten in den Genuss dieses Medikaments kommen, also eine Steigerung der weltweiten Ungerechtigkeit im extremen Ausmaß.

(Folie 12)

Was bedeutet die Verfügbarkeit aber für uns? Da muss man natürlich sagen: erst mal alles. Das ist so entscheidend für die Verbesserung der Lebensqualität, der Gesundheit, der Lebenserwartung, der Möglichkeiten, Geld zu verdienen, auch Partner zu finden, Kinder zu bekommen. Die Zahl der Schwangerschaften von Mukoviszidose-Patientinnen ist schon gestiegen in den letzten Jahren, sodass wir auf dieses Medikament nie mehr verzichten wollen. Das heißt, aus unserer Sicht muss

der Zugang dauerhaft und aus Solidarität mit den anderen Patienten weltweit gesichert werden.

Dafür ist aber Voraussetzung, dass der Preis fair und nachhaltig ist, und deswegen machen wir uns natürlich auch Gedanken: Was sind denn die Kriterien für die Rechtfertigung dieses Preises? Kann dieser Preis gerechtfertigt werden?

(Folie 13)

Da hab ich jetzt ein paar Vorschläge dabei. Zunächst kann man sich natürlich mal überlegen: Was wäre denn, wenn wir keine Krankenkasse hätten? Dann gäbe es Angebot und Nachfrage. Der Hersteller müsste mit dem Preis so weit runtergehen, bis Patienten anfangen, das Medikament zu kaufen, und wenn ich mit Patienten rede, dann sagen die: „Ich würde dafür alles ausgeben, was ich mir leisten könnte.“ Je nach Einkommen sind das vielleicht 500 oder 1000 oder auch 2000 Euro, sie würden die Eltern anfragen, sie würden alles unternehmen.

Aber wir haben natürlich kein Land ohne Krankenkasse. Wir haben zum Glück eine Krankenkasse, und wir leben ja in einem Land, das in dieser Hinsicht für seltene Medikamente beispielhaft ist.

(Folie 14)

Das zweite Kriterium ist natürlich interessant: Was kostet denn die Herstellung? Da gibt es inzwischen auch wissenschaftliche Analysen. Die haben sich den Syntheseweg angeschaut, haben es verglichen mit anderen Produktionen und kommen zu dem Schluss, dass die Produktionskosten 450 Euro pro Monat sind.

Jetzt erinnern Sie sich an die 21.000 Euro, das heißt, 2 Prozent des Verkaufspreises wird für die Produktion genutzt.

(Folie 15)

Dann sagt der Hersteller natürlich mit Recht: „Ja, ich brauche“ – das hat Herr Häussler auch schon erwähnt, der Pharmazeut hat investiert und braucht dafür einen Return on Invest, und er muss auch Misserfolge finanzieren können. Das heißt, er braucht einen mehrfachen Rückfluss seiner investierten Mittel.

Wichtig ist dabei aber: Die ersten 250 Millionen Dollar, die dazu geführt haben, dass man wusste: Es gibt solche Moleküle und man kann ein Medikament entwickeln, wurden durch Spenden finanziert. Erst dann ist der Unternehmer eingestiegen mit eigenem Geld. Aus Publikationen wissen wir auch, wie viel es war: Es waren ungefähr 7 Milliarden für die ganze Gruppe von Modulatoren für Mukoviszidose. Und die Firma macht inzwischen, wo nur 12 Prozent der Patienten weltweit das Medikament nehmen, schon einen Umsatz von 7,6 Milliarden; da muss man natürlich die Produktionskosten abziehen, die gering sind. Also nach ein paar Jahren hat er tatsächlich schon mehrfach diese Investition reingewirtschaftet, und dann müsste der Preis sinken.

(Folie 16)

Man kann andererseits sagen, es wird ja auch was eingespart. Ich brauche manche Medikamente nicht mehr, ich muss nicht mehr so häufig zur stationären Rehabilitation, und die Medikamente, die ich genommen habe (das hier war so eine Portion für drei Monate), haben auch viel Geld gekostet. Aber selbst wenn man da von Maximalwerten ausgeht, kommt man auf 5000 Euro, also nicht auf 21.000 Euro, was eingespart werden kann.

(Folie 17)

Wenn man sich fragt, ob dieser Preis für alle gelten kann, muss man sagen: In Deutschland gibt es

vier Millionen Menschen mit seltenen Erkrankungen, und falls alle diese seltenen Erkrankungen in den Genuss einer Therapie kommen würden – was ja unser Ziel sein müsste, nicht realistisch, aber –, dann wären das 1,1 Milliarden, und die gesamten Ausgaben der gesetzlichen Krankenkassen sind nur eine Viertelbilliarde. Das kann also nicht funktionieren. Das ist kein Preis, der für alle Menschen mit seltenen Krankheiten gelten kann.

(Folie 18)

Ein wichtiges Kriterium, das in angelsächsischen Ländern angewandt wird, ist das QALY, Quality-Adjusted Life Years. Da wird geguckt: Wie viel höhere Lebenserwartung erzeuge ich durch diesen Euro, den ich investiere? Und das wird korrigiert auf die Lebensqualität. Also wenn das Medikament bewirkt, dass ich hohe Nebenwirkungen habe, dann ist das natürlich kein ganzes Jahr, was da erwirkt wird usw.

Das unabhängige Institut in Amerika, Institute for Clinical and Economic Review, kam zu dem Schluss, dass ein solches Lebensjahr 1,5 Millionen Euro kostet, weil man es eben über mehrere Jahre nehmen muss, um ein zusätzliches Jahr zu leben, und kam zu dem Schluss, dass der Preis mindestens um den Faktor 4 zu hoch ist, selbst wenn man berücksichtigt, dass für seltene Krankheiten die Kosten für ein QALY natürlich um den Faktor 10 höher sein dürfen als für Standarderkrankungen, weit verbreitete Erkrankungen.

(Folie 19)

Für mich ist auch maßgeblich zu überlegen: Wie viele gesunde Mitglieder der Krankenkasse müssen denn ihren Beitrag zahlen (der liegt in Deutschland so bei 270 Euro pro Person, wenn man die mitversicherten Familienmitglieder berücksichtigt), damit ich mein Medikament bekomme? Da kommt man auf 78. Das heißt, wenn

ich im Wohnzimmer sitze, kann ich mir vorstellen: Die ganze Straße zahlt nur Krankenkassenbeiträge, damit ich das Medikament bekomme. Da ist schon die Frage, wann diese Solidarität überspannt wird. Herr Schröder hat von Spaltung gesprochen. Irgendwann gibt es da vielleicht auch mal Kritik oder Änderungen.

(Folie 20)

Interessant ist, dass es viele US-Patente gibt, die das Medikament schützen, plus die abgeleiteten Patente in den anderen Ländern, aber in Argentinien gibt es offenbar eine Ausnahme. In Argentinien gibt es auch Generika-Hersteller, also Pharmaindustrie, und die produzieren ein Generikum, das nur 3600 Euro im Monat kostet. Dabei hab ich schon reingerechnet, dass meine private Krankenkasse mir einmal pro Quartal einen Flug nach Argentinien bezahlen müsste, damit ich dann per Privatreisebedarf für drei Monate das Medikament mitnehmen darf. Nicht realistisch, ich will nicht mit 10.000 Dollar durch Argentinien zur Apotheke laufen, aber im Prinzip zeigt das schon, was für Missverhältnisse da sind. Und das kann nur in Argentinien genutzt werden, weil in anderen Ländern der Patentschutz verhindert, dass die Patienten, obwohl sie keinen Zugang zum Medikament haben, so ein Generikum einführen.

(Folie 21)

Wenn man alle diese Kriterien zusammenfasst, kommt man schon zu dem Eindruck, dass hier ein zu hoher Preis angewandt wird. Alle diese Kriterien, die mir eingefallen sind, zeigen einen zu hohen Preis. Und auch wenn die Präposition „nach“ und „hinter“ sehr ähnlich klingen, ist es doch ein großer Unterschied, ob der Preis nachhaltig oder hinterhältig ist.

(Folie 22)

Die Ursache ist das zweiseitige Monopol. Wenn ich nur einen Hersteller und nur einen Nachfrager

habe (in dem Fall der Bundesverband der Krankenkassen), dann ist die Preisfindung immer willkürlich und intransparent. Und wir haben so das Gefühl, die Firma macht bezahlte Interviews in der Mukoviszidose-Community und findet raus, ab wann die Leute bereit sind, das überhaupt zu verschreiben, zu nehmen, mitzutragen, oder wann übersteigen wir da eine Grenze, wo zu viele Patienten – es gibt auch jetzt welche, die sagen: „Das ist mir zu teuer, das nehme ich nicht.“

(Folie 23)

Dann entsteht auch der Gedanke, ob das nicht ein verbotener Missbrauch einer marktbeherrschenden Stellung des Unternehmens ist und diese Ausnutzung dieses Marktmonopols eigentlich verboten ist. In anderen Branchen würde das Bundeskartellamt einschreiten, hier nicht.

(Folie 24)

Für uns ist ganz krass der Gegensatz zu dem Geldmangel in der ambulanten Versorgung. Wir brauchen 400 Euro pro Monat und Patient, um eine spezialisierte Ambulanz in einer Klinik mit multiprofessioneller Betreuung, mit den Spezialisten (das ist so ähnlich wie bei der Hämophilie: Bei der Mukoviszidose ist immer alles anders) zu finanzieren, und die Krankenhäuser bekommen nur einen Bruchteil davon. Ein Krankenhaus, das eine gute Mukoviszidose-Ambulanz zur Verfügung stellt, wird bestraft.

Wir haben dazu 2017 eine Bundestagspetition eingereicht, aber das Problem ist nicht gelöst. Hier geht es um 2 Prozent dieser Kosten, und die stehen aber nicht zur Verfügung. Das macht uns natürlich große Sorgen.

(Folie 25)

Was sagt das Unternehmen? Die bekennen sich zu ihrer unternehmerischen Verantwortung und schreiben so schöne Sätze wie: „Unser Ziel ist es,

dass unsere Medikamente für so viele Patienten wie möglich zugänglich sind.“ Ist klar, „Die Menschen mit Mukoviszidose sollen sich auf die kontinuierliche Versorgung mit ihren Medikamenten verlassen können.“

(Folie 26)

Was ist also zu tun? Ich finde den Vorschlag der AOK-Gemeinschaft überlegenswert, nicht zuzulassen, dass man am Anfang einfach einen Preis festlegen lässt vom Unternehmer, der erst mal ein Jahr lang gilt, und danach wird verhandelt und es kommt irgendein Rabatt raus, der liegt meist so zwischen 10 und 15 Prozent, und bei einem Medikament, was so fantastisch wirkt wie das, wahrscheinlich ein viel geringerer Rabatt, und dann steht der Preis eben. Stattdessen könnte man aus der Vergleichstherapie einen Interimspreis festlegen und den erst mal anwenden, dann verhandeln und dann rückwirkend ausgleichen, wenn der zu niedrig war.

Dieses Modell wird übrigens interessanterweise in der Schweiz von der Pharmaindustrie vorgeschlagen. Denn in der Schweiz wird jahrelang verhandelt, und die Patienten haben einen sehr späten Zugang.

(Folie 27)

Es gibt internationale Aktivisten, das heißt Eltern, die um die Gesundheit ihrer Kinder kämpfen oder gegen den Tod ihres Kindes kämpfen, hier ein Kind aus Südafrika „Ich verdiene zu leben“, die das Problem haben, dass sie entweder keinen Zugang haben, weil Länder sich das nicht leisten können, oder weil zum Beispiel in Saudi-Arabien zu wenige Patienten da sind und die Firma gar keine Anstalten macht, zu beantragen, dass das Medikament erstattet wird, und trotzdem können die Patienten dieses Generikum aus Argentinien nicht einführen. Hier gibt es tatsächlich großen Handlungsbedarf, um diese Kinder zu retten.

(Folie 28)

Was können wir jetzt aus diesem Beispiel lernen?
Ich komme zum Schluss.

Wir Patienten brauchen dauerhafte Erstattung der Kosten dieser zugelassenen Medikamente.

Voraussetzung dafür ist aber ein fairer, von der Solidargemeinschaft tragbarer Preis.

Die aktuellen Preise, bei der Mukoviszidose zumindest, deuten nach den von mir genannten Kriterien eher auf Ausbeutung hin.

Dann muss man natürlich wissen, dass viele andere Orphan Drugs, also Medikamente für seltene Krankheiten, in ihrer Wirkung weit weniger überzeugend sind.

Deswegen brauchen wir eine gesellschaftliche Aushandlung und öffentliche Diskussion darüber, wo Grenzen zu ziehen sind, ob es Limitierungsentscheidungen geben muss und wo.

Ich denke, dass die EU-Länder ihre Marktmacht sammeln und gemeinsam Preise verhandeln sollten, denn im Moment werden die Länder gegeneinander ausgespielt. Wir sind ja das einzige Land, das diesen Preis akzeptiert. Alle anderen EU-Länder verhandeln einen Preis und erzielen Rabatte, und eventuell eben die kartellrechtliche Monopolaufsicht.

Vielen Dank.

Muna Tatari

Auch Ihnen, Herr Kruip, herzlichen Dank für Ihr klares Statement, was ja auch noch mal eine Dramatik bekommen hat, weil Sie es mit Ihrem persönlichen Leben in Verbindung gebracht haben.

Wenn ich jetzt Ihr Statement sehe und auch noch mal in Erinnerung rufe, was *Sie* vorgetragen haben, bin ich gespannt, was im Zusammenspiel dieser beiden Statements jetzt für Fragen aus dem Publikum gekommen sind. Herr Lipp, was ist bei Ihnen aufgetaucht an Fragen?