



FÖRDERVEREIN
**FÜR KINDER MIT
SELTENEN KRANKHEITEN**

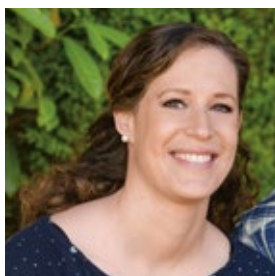


SELTENE KRANKHEITEN

THEAPIEN FÜR KINDER UND UNTERSTÜTZUNG FÜR DIE FAMILIEN



Manuela Stier



Daniela Schmuki



Prof. Dr. med. Andreas Meyer

IMPRESSUM

Herausgeber

Kinder mit seltenen Krankheiten –
Gemeinnütziger Förderverein
Ackerstrasse 43, 8610 Uster
+41 44 752 52 52
info@kmsk.ch
www.kmsk.ch
www.facebook.com/
kindermitseltenenkrankheiten

Initiantin/Geschäftsleitung

Manuela Stier
manuela.stier@kmsk.ch

Konzept

Branding, Marketing,
Corporate Design, Social Media
Stier Communications AG, Uster
www.stier.ch

Korrekturat

Syntax Übersetzungen AG, Thalwil

Druck

Schellenberg Druck AG, Pfäffikon ZH
Auflage 10 000 Expl. deutsch

Titelbild

Petra Wolfensberger

Erscheinungsdatum

Oktober 2020

THERAPIEN FÜR KINDER UND UNTERSTÜTZUNG FÜR DIE FAMILIEN

Geschätzte Leserinnen und Leser

«Wir befinden uns in einem unaufhörlichen Kreislauf aus unzähligen Therapiebesuchen, medizinischen Abklärungen, administrativen Herausforderungen und dem verzweifelten Versuch, ein halbwegs normales Familienleben aufrecht zu halten. Wir sind mitten in einem Kampf, den wir täglich zu verlieren drohen.» Solche Worte sind es, die wir immer wieder von Familien hören, die uns ans Herz gehen und die verdeutlichen: Wir müssen diesen Familien helfen, wir müssen sie unterstützen, ihnen konkrete Hilfestellungen geben und ihnen zeigen: «wir sind für euch da!» Aus diesem Grund möchten wir in unserem dritten KMSK Wissensbuch «Seltene Krankheiten» aufzeigen, welche konkreten Unterstützungsmöglichkeiten es im Alltag gibt, welche Therapieformen sich bei betroffenen Familien bewährt haben und wo sie sich Hilfe holen können, wenn der Durchblick im administrativen Dschungel verloren geht. Denn immer wieder hören wir, dass betroffene Familien falsch oder gar nicht über Unterstützungsmöglichkeiten informiert werden, obschon das Angebot vorhanden ist.

Die betroffenen Familien gewähren auch im dritten KMSK Wissensbuch einen authentischen Einblick in ihren Alltag: Sie zeigen auf, was sie beschäftigt, mit welchen Herausforderungen sie sich konfrontiert sehen und wo sie sich mehr Unterstützung wünschen. Demgegenüber stehen Ärzte, Therapeuten und Fachpersonen, die sich in unseren Interviews kompetent zu den verschiedenen Themen äussern und konkrete Hilfsmassnahmen aufzeigen.

Die Dialoggruppen des dritten Wissensbuches sind (neu) betroffene Familien, Gynäkologen, Hebammen, Kinderärzte, Hausärzte, Spezialärzte wie Genetiker, Augen- und Ohrenärzte, Therapeuten, Psychologen, Spitalpersonal, Krankenversicherer, Gesundheitspolitiker, Lehrer, Forschende an Hochschulen, Pharmamitarbeitende, IV-Mitarbeitende, Medien und die breite Öffentlichkeit. Ihnen wollen wir mehr Wissen und Verständnis zum Thema «Seltene Krankheiten bei Kindern» vermitteln.

Mit dem dritten Wissensbuch setzen wir wiederum ein Zeichen für die rund 350 000 betroffenen Kinder und Jugendlichen in der Schweiz und hoffen, dass wir damit noch mehr Wissen und Verständnis schaffen können. Für all die kleinen Patienten, ihre Eltern und ihre Geschwister.

Herzlichst

Förderverein für Kinder mit seltenen Krankheiten (KMSK)

MANUELA STIER

Initiantin/
Geschäftsleitung

DANIELA SCHMUKI

Beirätin KMSK/
Betroffene Mutter

PROF. DR. MED. ANDREAS MEYER-HEIM

Chefarzt Kinder-Reha Schweiz,
Universitäts-Kinderspital Zürich

Vorstand Prof. Dr. med. Anita Rauch, Präsidentin, seit 2020 / Prof. Dr. med. Thierry Carrel, Präsident von 2014-2019 / Prof. Dr. med. Matthias Baumgartner, seit 2014
Dr. med. Agnes Genewein, seit 2019 / Sandrine Gostanian, seit 2014 / Matthias Oetterli, seit 2014 / Dr. iur. Michael Tschudin, seit 2020

© Copyright Weiterverwendung des Inhalts nur mit schriftlicher Genehmigung des Fördervereins für Kinder mit seltenen Krankheiten erlaubt.

RASANTE VERDOPPLUNG DES MEDIZINISCHEN GRUNDWISSENS HILFT BETROFFENEN

Als Geschäftsführer der Vereinigung Pharmafirmen in der Schweiz (vips) vertritt Ernst Niemack 67 Pharmafirmen. Zudem ist er zuständig für den Vorstandsausschuss Seltene Krankheiten, in welchem ein regelmässiger Austausch zum Thema stattfindet. Im Interview geht Ernst Niemack darauf ein, weshalb die Thematik auch strategisch sehr wichtig für die vips ist.



Ernst Niemack
Geschäftsführer, vips
Vereinigung Pharmafirmen
in der Schweiz

Die vips hat kürzlich eine Broschüre zum Thema seltene Krankheiten herausgegeben. Hat der Stellenwert von seltenen Krankheiten Ihrer Ansicht nach in den letzten Jahren zugenommen? Ja, wir haben festgestellt, dass es viele verschiedene Broschüren zum Thema gibt. Jedoch haben alle folgenden Fokus: Ein betroffener Patient mit seiner Familie wird sehr emotional porträtiert. Es gibt praktisch keine Publikation, welche die Problematik fachlich aufarbeitet und mit Zahlen und Studien kurz und bündig dokumentiert. Die Broschüre der vips ist nicht in erster Linie für Betroffene gedacht, sondern für Entscheidungsträger wie Politiker oder Vertreter von Krankenkassen. Ihnen, wie auch den Journalisten, können wir mit Fakten und Zahlen das Thema näher erläutern. So haben wir die Broschüre etwa an zahlreiche Neupolitiker und Medienschaffende verschickt. Dass der Stellenwert der seltenen Krankheiten so stark gestiegen ist, haben wir auch dem medizinischen Grundwissen zu verdanken. 1950 brauchte es noch fünfzig Jahre, bis sich das medizinische Grundwissen verdoppelt hatte. 1980 waren es noch sieben Jahre und heute dauert es nur noch gerade 73 Tage. Die Entwicklung ist deshalb in allen Bereichen rasend schnell. Es gibt immer mehr personalisierte Medizin und intensivere Forschung, gerade auch für seltene Krankheiten. Entsprechend grösser ist der Outcome. So erwarten wir in den nächsten Jahren

beispielsweise 1800 neue Krebsmedikamente, die immer spezifischer eingesetzt werden können.

Die Entwicklung von Medikamenten für seltene Krankheiten ist sehr teuer und der Absatzmarkt ist klein. Lohnt es sich für Pharmafirmen überhaupt, in die Entwicklung von Medikamenten gegen seltene Krankheiten zu investieren? Ob es sich lohnt, ist immer schwierig zu sagen, da es sich ökonomisch um eine hochriskante Forschung handelt. Bei der Medikamentenentwicklung entsteht aus 10 000 gefundenen Substanzen nur ein marktreifes Medikament, wobei dies 10 bis 15 Jahre dauert und zwischen 1 bis 2.5 Milliarden Franken kostet. Von 10 Substanzen, die in die klinischen Studien kommen, wird schlussendlich nur 1 Medikament zugelassen. Zusätzlich ist zu beachten, dass nur jedes dritte Medikament gegen seltene Krankheiten, das auf den Markt kommt, die Forschungskosten wieder einspielt. Daraus kann man erkennen, wie schwierig die Preisgestaltung sein kann. Im Jahr 2012 waren lediglich 12% aller Biotech-Firmen rentabel. Viele kleinere Biotech-Unternehmen werden deshalb von einem grossen Player gekauft.

Können Sie uns noch etwas mehr zum Vorgehen bei der Forschung im Bereich seltene Krankheiten sagen? Zentral bei der Forschung ist, die Wirkung und allfällige unerwünschte Wirkungen zu belegen. Dies ge-

«Patienten in der Schweiz haben nur auf 43% der verfügbaren Medikamente Zugriff.»

ERNST NIEMACK

schieht mittels Studien. Erst dann kann eine Zulassung und ein Preis für das Medikament erteilt werden. Bei der Forschung für «herkömmliche» Medikamente beispielsweise im Zusammenhang mit Bluthochdruck finden Studien sehr breit statt. Man findet relativ leicht 10 000 Menschen, die an einer Studie teilnehmen können. Bei Medikamenten gegen seltene Krankheiten dagegen, gibt es oft nur sehr wenige geeignete Patienten, weshalb solche Studien nur an ausgewählten spezialisierten Zentren durchgeführt werden können.

Findet die Forschung auch unternehmensübergreifend statt? Einen Austausch gibt es vorwiegend dann, wenn ein Joint Venture vereinbart wird, was auch zusammen mit einer Universität geschehen kann. Oftmals aber forschen viele kleine und grosse Biotech-Firmen individuell, denn die Forschung ist ein Wettrennen, wer zuerst die Marktreife erreicht. Eine Zusammenarbeit gibt es aber auch bei Studien und natürlich bei der Registerführung. Wenn mehrere Firmen in einem Forschungsgebiet tätig sind, wird oft ein sogenanntes Register geführt. So entstehen Erkenntnisse, von denen alle profitieren können. Beispielsweise verfolgt eine Firma einen spezifischen Ansatz, eine zweite Firma einen anderen. Dank des Registers erkennt man Muster, sodass ein gemeinsames Vorgehen effizienter sein könnte.

Wir bei der vips kümmern uns um geeignete Rahmenbedingungen, so dass Forschung und Finanzierung überhaupt möglich sind. Wir sorgen aber auch dafür, dass Medikamente für die Patienten verfügbar sind. In Deutschland hat der Patient auf 96% der gesamthaft verfügbaren Produkte Zugriff. In der Schweiz sind es nur gerade mal 43%. Dies bedeutet, dass

das Medikament zwar zugelassen ist, aber nicht von der Kasse übernommen wird. Mit Artikel 71 lässt sich eine Vergütung im Einzelfall erwirken. Dabei handelt es sich um einen Antrag im Einzelfall damit die Kosten für das Medikament dennoch von der Krankenkasse übernommen werden, auch wenn das Medikament nicht auf der Spezialitätenliste steht. Wie man sich denken kann, entstehen so sehr grosse Unterschiede in der Verfügbarkeit der Medikamente für die Patienten. Hier kommen wir ins Spiel und versuchen, für den Patienten über die Schweiz hinweg einen gleichberechtigten Zugang zu Medikamenten zu erzielen. Dies ist verbunden mit sehr viel politischer Arbeit, sehen wir uns doch als Drehscheibe zwischen Swissmedic und dem BAG, Politikern, Mitgliedern und Medien.

Medikamente für die Behandlung von seltenen Krankheiten werden also nicht generell durch die IV oder Krankenkasse übernommen, obschon dies für betroffene Familien so wichtig wäre. Wie erfolgt denn eine Kassenzulassung? Jede Pharmafirma hat das Bestreben, ihr Produkt kassenzulässig zu machen. Dazu wird ein Antrag beim BAG gestellt, woraufhin dieses theoretisch innerhalb von 60 Tagen über die Zulassung entscheiden müsste. In der Praxis kann dieser Entscheid aber bis zu zehnmal länger dauern. Dies ist sehr einschränkend, da das Produkt entsprechend erst über Jahre verspätet vergütet wird. Mit Artikel 71 kann dies zwar überbrückt werden, jedoch schafft man damit eine Situation, in der man für ein Medikament von Kasse zu Kasse und von Patient zu Patient unterschiedliche Beurteilungen in Kauf nehmen muss. Es kann durchaus vorkommen, dass beim Übertritt ins Erwachsenenalter für eine Therapie gegen ein Geburtsge-

brechen auf Grund unterschiedlicher Sozialsysteme die Behandlung von der Krankenkasse nicht mehr bezahlt wird und es zu einem Unterbruch der Therapie kommt. Deshalb sind wir aktuell dabei, zusammen mit dem BAG neue Wege zu suchen – sowohl bei der Vergütung im Einzelfall wie auch bei der Aufnahme in die Spezialitätenliste.

Kann die Forschung im Bereich seltene Krankheiten auch Auswirkungen auf Medikamente für nicht seltene Krankheiten haben? Durchaus gibt es hier einen stimulierenden Effekt. Sowohl bei den Substanzen wie auch bei den Technologien. Es gibt aber auch den umgekehrten Fall: Man hat ein Produkt für eine Indikation X entwickelt, stellt dann aber fest, dass es noch wirksamer ist für eine seltene Krankheit.

Was können Pharmafirmen im Umgang mit seltenen Krankheiten nebst den Medikamenten sonst noch beitragen? Pharmafirmen können direkt oder über den Verband im Sinne der Aufklärung das Bewusstsein für seltene Krankheiten fördern. Beispielsweise in Gesprächen mit Politikern oder Medien, wo ein einzelner Patient zu wenig Gehör findet. Es ist aber wichtig zu verstehen, dass Pharmafirmen zwar die Allgemeinheit aufklären dürfen, aber keine direkte Kommunikation mit den Patienten erlaubt ist. Dies wird als verbotene Werbung ausgelegt. Deshalb unterstützen viele Pharmafirmen unabhängige Stiftungen, die sich produkteneutral engagieren. Hier fliessen übrigens jährlich hohe Summen in die Stiftungen, welche letztlich versuchen, ohne kommerzielle Interessen die Gesamtsituation zu verbessern.

INTERVIEW: RANDY SCHEIBLI