

## Erbarungslos

*Die neunjährige Hannah leidet an einer so seltenen wie furchtbaren Krankheit: Ihr Körper vergiftet sich selbst. Ein Medikament könnte ihr wohl noch helfen. Es befindet sich in der Testphase. Doch die Firma rückt es nicht raus*

Von Christina Berndt, Süddeutsche Zeitung, 23.05.2015

Sie weinen nachts. Tagsüber verbieten sie sich die Tränen. Dann wirken Stefanie und Michael Vogel beeindruckend gefasst. Sie wollen nicht, dass ihre Kinder etwas merken von dem großen Schlag, der die Familie getroffen hat. Und sie haben sich entschieden zu kämpfen – gegen einen Gegner, der das Entsetzen mildern könnte, das von ihrem Leben Besitz ergriffen hat, der ihr nächtliches Weinen beenden könnte. Aber nicht will.

Eine Doppelhaushälfte mit Garten in der Nähe von Bad Tölz: Die neunjährige Hannah öffnet die Tür, ein hübsches Mädchen mit strahlend blauen Augen und halblangem braunen Haar. Zart ist sie für ihr Alter. Kurz lächelt sie, dann läuft sie davon, wirft sich drüben im Wohnzimmer weinend auf den Boden. Eben wollte sie ihrem jüngeren Bruder eine Geburtstagskarte schreiben. Aber wie schreibt man „Jonathan“? Vor Kurzem wusste sie es noch, nun ist auch das verschwunden.

Oft ist Hannah traurig, wenn sie bemerkt, dass ihr etwas nicht mehr gelingt. Manchmal auch wütend. Ihre Eltern aber sind verzweifelt. Sie wissen, dass ihre Tochter immer weitere Rückschritte machen wird. Dass am Ende der Verlust all ihrer Fähigkeiten stehen wird und dann der Tod, in wenigen Jahren schon.

Hannah leidet an der Erbkrankheit NCL2, auch CLN2 oder Kinderdemenz genannt. Die Krankheit ist ausgesprochen selten, nur 30 Betroffene gibt es in Deutschland, und es ist zugleich eine der schrecklichsten Krankheiten, die ein Kind

# ReporterFORUM

[www.reporter-forum.de](http://www.reporter-forum.de)

bekommen kann. Weil ein einziges Gen in Hannahs Erbgut von Geburt an verändert ist, können ihre Zellen Abfallstoffe nicht richtig verdauen – der Körper vergiftet sich nach und nach selbst, im Gehirn sterben Zellen. Solange sie klein war, übernahmen gesunde Bereiche des Gehirns die Aufgaben. Hannah lernte das Vergessene neu, nur um es dann wieder zu vergessen. Ärzte dachten damals, sie habe Legasthenie oder ADHS, weil sie eben nicht so leicht lernte. Im vergangenen Sommer aber konnte Hannah plötzlich nicht mehr Radfahren, beim Treppensteigen brauchte sie Hilfe oder rutschte auf dem Po hinunter, häufig fiel sie hin. „Da waren wir uns sicher, dass es etwas Ernstes ist“, sagt Stefanie Vogel. Seit Februar hat die Familie nun Gewissheit.

Kein Kraut ist gegen Hannahs Krankheit gewachsen, keine Pille gedreht, keine Macht kann etwas dagegen unternehmen: Das hätte man den Eltern vor fünf Jahren noch gesagt. Doch es ändert sich gerade. Es gibt sehr wohl eine Macht, die Hannahs schleichenden Tod vielleicht besiegen könnte, es ist die Macht der Pharmaindustrie, genauer: eines Unternehmens namens Biomarin. Die Firma aus Kalifornien hat gegen NCL2 ein Medikament entwickelt, das für den Markt noch nicht zugelassen ist. Unter dem Forschungskürzel BMN 190 wird die Arznei gerade getestet, am Universitätsklinikum Hamburg-Eppendorf etwa bekommen zwölf Kinder das Mittel. Ihre Eltern sind grenzenlos erleichtert: Die Krankheit schreite nicht weiter fort, berichten manche. Andere sagen, ihr Kind könne sogar wieder besser laufen oder habe seine Sprache wiedergefunden. Auch Biomarin spricht von „ermutigenden ersten Daten“. An Hannah aber will die Firma das Medikament nicht herausgeben.

Für ihre Eltern ist das unbegreiflich: „Man muss einem todkranken Kind doch helfen, wenn man die Möglichkeit dazu hat“, sagt die Mutter. Doch auch Biomarin führt höhere Gründe an: Man habe eine „ethische Verpflichtung“ allen NCL2-Patienten gegenüber, schreibt die Firma auf Anfrage: „Die behördliche Zulassung ist der schnellste Weg, um allen Patienten einen Zugang zu ermöglichen.“ Diese wolle man durch den Einsatz von BMN 190 außerhalb von Studien nicht gefährden. Wenn dabei etwas schiefgeht, das bestätigt auch der Medizinrechtler Markus Finn von der Hochschule in Hof, kann sich die Zulassung verzögern – und alle Patienten würden länger leiden. An der Studie teilnehmen kann Hannah aber nicht mehr, dafür wurde NCL2 bei ihr zu spät diagnostiziert.

# ReporterFORUM

[www.reporter-forum.de](http://www.reporter-forum.de)

Zweifellos muss es das höchste Ziel sein, ein hilfreiches Medikament so bald wie möglich auf den Markt zu bringen. Und natürlich müssen Arzneien zuvor ausführlich getestet werden: Haben sie schwere Nebenwirkungen? Ist die Therapie gar nicht so erfolgreich wie zunächst gedacht? Gut 15 Jahre vergehen im Schnitt bis zur Zulassung, oft genug erweisen sich einst hoffnungsvolle Substanzen in den letzten Studien noch als nutzlos oder gar riskant.

Für Hannah aber ist Warten keine Option. Selbst wenn das Mittel in einem beschleunigten Verfahren zugelassen würde, käme dies für sie zu spät: Bald könnte sie das Laufen verlernen, mit dem Sprechen tut sie sich jetzt schon schwer. „Fast täglich sehen wir Einbußen“, sagt die Mutter.

Die Eltern wollen das Nein der Pharmafirma deshalb nicht akzeptieren, sie haben sich entschlossen zu kämpfen. Stefanie Vogel ist Logopädin, ihr Mann ist Holzbildhauer. Bei der berühmten Sixtinischen Madonna in Dresden hat er den verfallenen Renaissance-Rahmen ersetzt. Dass sie mit Smartphones hantieren, dass es in ihrem Haus nun WLAN gibt, ist neu. „Wir brauchen das jetzt, um uns besser organisieren zu können“, sagen sie. Ein ganzes Netzwerk von Freunden steht ihnen bei, sie haben auch eine Online-Petition gestartet, um Biomarin unter Druck zu setzen. Mehr als 170 000 Unterstützer haben die Petition auf [www.hannahs-hoffnung.de](http://www.hannahs-hoffnung.de) bereits unterzeichnet. Sie empört die Entscheidung von Biomarin.

Fakt ist: Pharmafirmen müssen todkranken Menschen nicht die Tür vor der Nase zuschlagen – auch dann nicht, wenn es in Studien keinen Platz mehr für sie gibt. Wenn die Firma wollte, könnte sie helfen. Ausdrücklich sehen die Arzneimittelgesetze sowohl in den USA als auch in Deutschland vor, dass Medikamente gegen tödliche Krankheiten, für die es keine andere Behandlung gibt, schon vor der Zulassung ausgegeben werden dürfen. Es muss sich nur ein Arzt finden, der einen solchen individuellen Heilversuch vornimmt.

Für Hannah ist dieser Arzt bereits gefunden. Der Stoffwechselexperte Thorsten Marquardt vom Universitätsklinikum Münster würde die Verantwortung für Hannahs Behandlung mit BMN 190 übernehmen. Zweimal hat der Professor deshalb schon an Biomarin geschrieben – und Absagen kassiert. Bei anderen Firmen hatte Marquardt in ähnlichen Fällen dagegen Erfolg. „Sie haben experimentelle Arzneien oft schnell und

unbürokratisch herausgegeben“, sagt er. Zu einer jungen Frau, für die er sich Ende der 90er-Jahre einsetzte, hat er noch Kontakt. „Sie ist heute 18 Jahre alt und hat zwar Behinderungen, aber Lebensfreude. Ohne die Behandlung wäre sie tot.“ Dass Biomarin Hannah eine Absage erteilt hat, kann Marquardt nicht verstehen. Und die ethische Begründung schon gar nicht: Die Risiken für die Firma und die Zulassung seien gering, meint er.

Pharmakonzerne, muss man an dieser Stelle konzedieren, sind keine wohltätigen Stiftungen. Auch wenn sie auf einem sensiblen Feld arbeiten und es oft um Menschenleben geht, verfolgen sie doch kommerzielle Interessen. Das ist legitim. Biomarin ist eine Aktiengesellschaft mit einem Marktwert von 17 Milliarden Dollar. Schlechte Nachrichten würden sich negativ auf den Aktienkurs auswirken. Im Fall von BMN 190 sind die Risiken jedoch überschaubar. Er könnte die Arznei gemeinsam mit den erfahrenen Studienärzten aus Hamburg geben, sagt Marquardt. „Außerdem bekommen manche Kinder aus der Studie das Medikament nun schon länger als ein Jahr, ohne dass nennenswerte Nebenwirkungen aufgetreten sind.“

Nebenwirkungen?

Im Wohnzimmer in Bad Tölz möchte Hannah ein Kaugummi haben. Schon wieder. „Ja, nimm dir noch eins“, sagt die Mutter. Und fügt mit traurigem Lächeln hinzu: „Wieso sollten wir noch auf eine gesunde Ernährung achten?“ Für Hannah gibt es nichts Schlimmeres als den natürlichen Verlauf der Erkrankung. Nebenwirkungen sind da ein Witz.

Manche Firmen tun noch mehr. Sie bieten ihre Arzneien vor der Zulassung nicht nur einzelnen Patienten an, sondern, im Rahmen eines Härtefall-Programms, ganzen Gruppen von Betroffenen. „Compassionate Use“ heißt das auch, „Gabe aus Barmherzigkeit“. Gegen Ebola etwa wurden Substanzen eingesetzt, die zuvor nur an Tieren erprobt worden waren. Wer hätte angesichts der humanitären Katastrophe, die sich in Westafrika abspielte, die Betroffenen auch bis zur Zulassung vertrösten wollen? „Man kann Unternehmen aber nicht zu solchen Programmen zwingen“, sagt der Medizinrechtler Gunnar Duttge von der Universität Göttingen. Und Biomarin ist zu Barmherzigkeit nicht bereit.

# ReporterFORUM

[www.reporter-forum.de](http://www.reporter-forum.de)

Für Patienten aber ist es unerträglich, dass es dem Kalkül von Konzernen überlassen bleibt, ob sie lebensrettende Arzneien erhalten oder nicht. Kann Freiwilligkeit in einem Markt, in dem es um Leben und Tod geht, das Prinzip sein? Schon heute ist vieles im Pharmabereich stärker reguliert als in anderen Branchen. Es wäre kein Problem für den Gesetzgeber, Pharmafirmen zu mehr Kooperation zu bewegen.

Denn das ist nötig. Seit 2010 steht die Möglichkeit des Compassionate Use nun schon im Arzneimittelgesetz. Genutzt wurde sie seither gerade 25 Mal. „Offensichtlich sind die Hürden zu hoch“, sagt der Medizinrechtler Duttge. Das liege auch an der Kostenregelung: Pharmafirmen müssen ihre Medikamente umsonst zur Verfügung stellen, und Patienten müssen die Erstattung der Behandlungskosten jeweils bei ihren Krankenkassen erstreiten. Dahinter steckt, dass „keine Anreize für die Umgehung der Zulassungspflicht gegeben werden sollen“, wie das Bundesgesundheitsministerium erklärt.

Das klingt alles logisch. Für Todkranke aber ist es eine Zumutung. Gewiss muss der vorzeitige Gebrauch nicht zugelassener Arzneimittel streng reguliert werden – niemand möchte, dass Firmen auf diesem Wege experimentelle Medikamente in den Markt drücken. Schließlich warten ständig Patienten auf neue, womöglich bessere Präparate. Und mitunter verlieren sie bei der rastlosen Suche nach einem Zugang zu neuartigen Arzneien nur wertvolle Zeit für den Abschied von der Welt.

Doch mit der Situation von Kindern wie Hannah ist dies alles nicht zu vergleichen. Sie hat derzeit nur eine Chance, und die heißt BMN 190. Ohne dieses Mittel stirbt sie. Und jede Verzögerung bedeutet einen weiteren Verlust von Fähigkeiten. Tag für Tag raubt die Krankheit den Eltern ein Stück ihres Kindes.

Eigentlich hat Biomarin Erfahrung mit Menschen im Extremzustand. Seit 1997 entwickelt das Unternehmen nun schon Medikamente gegen „vernachlässigte Krankheiten“ – ernste und seltene Leiden wie NCL2, für die sich sonst nur die wenigen Betroffenen und ihre Ärzte interessieren. Das Engagement von Biomarin ist zwar hochwillkommen – honorig muss man es trotzdem nicht nennen. Firmen, die Medikamente gegen seltene Krankheiten herstellen, lassen sich diese am Ende auch teuer bezahlen; den Preis können sie selbst bestimmen, da sie konkurrenzlos sind. So

gibt es Therapien, die pro Patient und Monat rund eine Million Euro kosten. Biomarin bietet seine Präparate da noch zu recht zivilen Preisen an: 60 000 Euro pro Monat kostet die Therapie mit BMN 190 im Rahmen der Studie derzeit.

Wer in einem solchen Nischenmarkt unterwegs ist, muss sich allerdings auch die Frage stellen: Was passiert mit Patienten, die nicht in Studien aufgenommen werden? Denn auch das hat mit wirtschaftlichem Kalkül zu tun: Die Firmen setzen bei der Auswahl ihrer Testpersonen enge Grenzen – am Ende soll das getestete Medikament ja gut dastehen. Deshalb werden Patienten ausgewählt, bei denen sich möglichst schnell ein möglichst großer Nutzen zeigt. In die BMN-190-Studie hat Biomarin nur Kinder aufgenommen, die noch laufen konnten und in der Lage waren, „sinnvolle Wörter“ zu sprechen, wie es im Studienprotokoll heißt. Manche Kinder wurden von Anfang an abgelehnt, zum Teil Geschwister von Studienteilnehmern. Für deren Eltern ist es eine gnadenlose Situation: Dem einen Kind können sie helfen, dem anderen sehen sie beim Sterben zu.

Hannah ahnt noch nichts von ihrem Schicksal. Lebenslustig ist sie. Gerade war sie mit einem Freund auf dem Spielplatz, jetzt möchte sie zu Hause im Garten schon wieder aufs Trampolin. Sie wirkt in diesem Moment glücklich, unbeschwert. Dabei produziert ihr kleiner Körper rund um die Uhr Giftstoffe, die er nicht loswerden kann. Bis sie im Rollstuhl sitzt, ist es nur noch eine Frage der Zeit. Neuerdings werden auch ihre Augen schlechter. Sie greift oft nach Dingen, weil Blicke nicht mehr reichen. Noch könnte ihr Körper wohl vieles neu lernen, wenn ein Medikament ihm helfen würde, seinen Zell-Müll zu verdauen.

Ein gesundes Kind wird Hannah nicht werden, mit keiner Medizin der Welt. „Aber das ist uns egal“, sagt der Vater und kämpft nun doch mit den Tränen. „Wir haben Hannah nie Stress gemacht. Wir haben sie immer genommen, wie sie ist. Wir wollen einfach, dass sie bei uns bleibt.“