



Diagnose ohne Mitgefühl

Medizin Ein Niederländer baut eine Onlineplattform für noch nicht zugelassene Medikamente auf. Auch in Deutschland warten Schwerkranke auf die neuen Wirkstoffe, meist vergebens. Patienten sterben, weil die Hürden zu hoch sind.

Als der Anruf kam, war Ronald Brus in seinem Ferienhaus in Südfrankreich. Die Atlantikküste lag verlassen da. Er hatte das Gebäude einen Tag zuvor gekauft. Im Sommer, so seine Hoffnung, würde er hier mit der Großfamilie Urlaub machen.

Sein Vater war am Telefon. Er atmete schwer. Er weinte. „Ich habe Lungenkrebs“, sagte er. „Ich werde dein Haus nicht mehr sehen.“

Wenige Wochen später versuchten Ärzte, den Tumor herauszuschneiden. Die Metastasen kamen trotzdem.

Ronald Brus, selbst Doktor der Medizin, stand damals an der Spitze einer niederländischen Firma, die Impfstoffe herstellte. Seit mehr als 20 Jahren arbeitete er in der Pharmabranche, er hatte Geld und Kontakte. Ein Kollege berichtete ihm, dass in den USA gerade neuartige Medikamente gegen nicht kleinzelligen Lungenkrebs getestet würden.

Vor allem ein Präparat namens Keytruda werde als Wundermittel gehandelt.

Doch der Wirkstoff war noch nicht zugelassen.

Um seinen Vater zu retten, wollte Brus das Medikament unbedingt haben, sofort. Er telefonierte mit Ärzten und Pharmafirmen. Er arbeitete sich durch Gesetzesvorschriften, stellte einen Antrag bei den niederländischen Behörden. Er ahnte, dass er zu spät sein würde.



MARKEL REDONDO / DER SPIEGEL

Medikamentenabfüllung, Unternehmer Brus vor seinem Ferienhaus in Südfrankreich: „Ich habe eine große Idee“

In vielen Arzneimittelstudien werden Wirkstoffe gegen Erkrankungen getestet, für die es bislang noch keine Therapie gibt. Es sind potenzielle Medikamente für Menschen, deren wichtigste Frage lautet: Wie lange habe ich noch zu leben? In zahlreichen Industrieländern gibt es gesetzliche Ausnahmeregelungen, um schon vor der Marktzulassung an solche Mittel zu gelangen. Der Fachausdruck lautet *Compassionate Use*: Gabe aus Mitgefühl.

Bisher jedoch ist dieses Mitgefühl die Ausnahme, nicht die Regel.

Brus beschloss, einen Onlinehandel für solche noch nicht zugelassenen Medikamente zu eröffnen. Er verkaufte seinen Anteil an der Pharmafirma und beantragte eine Lizenz zum Vertrieb pharmazeutischer Mittel. Er investierte 2,7 Millionen Euro, stellte Juristen ein, Apotheker, Programmierer, Ärzte.

Vor etwas mehr als einem Jahr ging seine Plattform *MyTomorrows* online: eine weltumspannende Datenbank, die experimentelle Medikamente gegen lebensbedrohliche Krankheiten enthält. Jeder Patient kann seither auf der Plattform einsehen, ob es einen Wirkstoff gibt, der ihm helfen könnte – und er erfährt auch, wie er ihn bekommen kann.

Inzwischen zählt die Onlinebörse 30 000 Suchanfragen pro Monat. Auf seinem Handy kann Brus jederzeit verfolgen, nach welchen Krankheiten am häufigsten gesucht wird. Die aktuelle Statistik:

Platz 3: Prostatakrebs

Platz 2: Hautkrebs

Platz 1: chronisches Erschöpfungssyndrom.

Mit *MyTomorrows* hat der Niederländer eine Öffentlichkeit hergestellt, die es vorher so nicht gab. Brus hat, so könnte man es sagen, die Speisekarten aller Pizzerien

dieser Welt in einer großen Liste zusammengefügt. Jetzt möchte er erreichen, dass man möglichst viele dieser Pizzen direkt bei ihm bestellen kann. Und damit beginnt das Problem.

Brus kann die neuen Medikamente nicht einfach so verschicken. Jedes *Compassionate-Use-Programm* muss von den jeweiligen nationalen Behörden genehmigt werden; denn niemand weiß genau, wie sicher die Präparate sind. Ein noch nicht zugelassenes Medikament ist eben keine Pizza.

Ronald Brus empfängt Besucher in seiner Firmenzentrale in Amsterdam, Pilotenstraat 45, ein Großraumbüro im dritten Stock. Hinter klobigen Holztischen: Erdem, Mitchell, Siebrig, alle per Du. Brus, 53 Jahre, Manschettenknöpfe, Einstecktuch, ist ein Mann, der nicht gern still sitzt. Mitten im Gespräch springt er auf, läuft zur Tafel an der Wand und malt einen lang gestreckten Pfeil. Darüber schreibt

er: „Zehn Jahre“. So lange dauere es im Schnitt, bis ein neues Medikament auf den Markt komme.

In diesen zehn Jahren muss sich das potenzielle Arzneimittel in drei klinischen Phasen bewähren, in denen es an Menschen getestet wird. Der Wirkstoff wird dabei nicht mehr verändert.

„Wir nennen diesen Zeitraum ‚Entwicklung‘, aber tatsächlich wird nichts mehr entwickelt“, sagt Brus. Wie viele schwer erkrankte Menschen, fragt er aufgebracht, müssten sterben, weil ihnen ein Medikament auch nach zwei erfolgreichen Studienphasen noch vorenthalten werde?

Mit seiner Plattform gehört er zu den Pionieren einer Bewegung, die für einen leichteren Zugang zu experimentellen Medikamenten kämpft und vor allem in den Vereinigten Staaten starken Zulauf hat. In bisher 31 amerikanischen Bundesstaaten setzten Aktivisten und Patientenorganisationen in jüngster Zeit „Right to Try“-Gesetze durch, die sterbenskranken Patienten das fundamentale Recht zusprechen, selbst zu entscheiden, ob sie ein neues Mittel bereits vor der Zulassung ausprobieren möchten. Keine staatliche Stelle darf ihnen diesen Wunsch mehr verwehren. Es ist der amerikanische Freiheitsgedanke in seiner reinsten Form.

Die Forderungen europäischer Aktivisten sind weniger radikal. Noch glauben hiesige Patientenorganisationen an die schützende Hand von Zulassungsbehörden. Doch das Ziel ist gleich: Compassionate Use soll leichter möglich werden als bisher.

In Deutschland kämpfen Betroffene mit einem starren Gesetz, das die entscheidende Frage unbeantwortet lässt: Was, wenn die Pharmafirmen die neuartigen Medikamente nicht herausgeben? Derzeit laufen lediglich 14 Compassionate-Use-Programme für Patienten, die nicht mehr warten können. Die Betroffenen leiden an unterschiedlichen Krebsarten, an neurologischen Erkrankungen oder an Infektionen, gegen die kein Antibiotikum mehr hilft.

Es sind Patienten wie der Würzburger Gerald Brandt, 45, der an einer unheilbaren Knochenstoffwechselstörung erkrankt ist. Innerhalb weniger Jahre zog er sich fast 50 Frakturen zu, Mittelfußknochen, Schlüsselbein, Unterarme, Rippen. Er stand kurz vor einem Nierenversagen. Im Mai 2012 erhielt er einen neuartigen Wirkstoff gegen seine Krankheit, lange bevor dieser in Deutschland zugelassen wurde. Brandt sagt: „Ohne Compassionate Use wäre ich heute nicht mehr da.“

In Deutschland sind Compassionate-Use-Programme auf den Websites des Bundesinstituts für Arzneimittel und Medizinprodukte und des Paul-Ehrlich-Instituts gelistet. Zwei grundlegende Bedingungen muss ein Medikament erfüllen, um auf ei-

ner der Listen zu stehen: Es muss gegen eine Krankheit wirken, die zum Tod oder zu einer schweren Behinderung führen kann und für die es keine zufriedenstellende Therapie auf dem Markt gibt. Und es muss sich bereits in der klinischen Erprobung befinden. Nur der Pharmahersteller selbst darf einen Antrag beim Bundesinstitut einreichen. Patienten und Ärzte können das Unternehmen darum bitten; doch sie haben nicht das Recht, selbst einen Antrag zu stellen.

Wie viele Menschen ein noch nicht zugelassenes Medikament dringend benötigen, es aber nicht bekommen, das steht auf keiner Liste.

Nur selten treten die Schwerkranken in die Öffentlichkeit, um Hilfe zu finden – als würde sich für kurze Zeit ein Vorhang öffnen. So erfährt die Gesellschaft von tragischen Geschichten, von der Suche nach einem Ausweg aus der Ausweglosigkeit.

Im Frühjahr 2015 hob sich der Vorhang, als auf der Website Change.org eine Petition online ging. „Bitte helft unserer Tochter Hannah zu leben“, stand dort. Hannah, inzwischen zehn Jahre alt, leidet an CLN2, einer Form der sogenannten Kinderdemenz. Die seltene Stoffwechselerkrankung führt zur Erblindung, die betroffenen Kinder verlieren das Laufen und Denken – und sterben früh.

Bislang ist kein Medikament zugelassen, das Hannah Vogel helfen könnte. Das US-amerikanische Unternehmen Biomarin testete zwar einen neuen Wirkstoff, nahm aber keine weiteren Patienten mehr in die bereits laufende klinische Studie auf. Deshalb baten die Eltern Biomarin um einen Einzelheilversuch.

Doch die Pharmafirma lehnte ab.

Der Vorhang stand jetzt weit offen. Familie Vogel wandte sich an Selbsthilfegruppen, 404 685 Menschen unterzeichneten zwischenzeitlich auf Change.org einen Appell an den Pharmakonzern. Hannahs Vater reiste nach London und New York, stellte sich als lebende Litfaßsäule mit einem Schild um den Hals vor ein Gebäude, in dem Investoren von Biomarin zusammentrafen. Es sah aus wie der klassische Kampf David gegen Goliath, der verzweifelte Vater gegen die profitgierige Pharmaindustrie.

Aber so einfach ist es nicht. Die Zurückhaltung der Pharmafirmen liegt auch daran, dass die rechtlichen Hürden in Deutschland zu hoch sind. Das bestehende Gesetz schreibt vor, dass die Unternehmen nicht zugelassene Präparate kostenlos herausgeben müssen. Keine Krankenkasse muss dafür bezahlen.

Hinzu kommt der bürokratische Aufwand: Zu 18 Punkten muss ein Pharmaunternehmen Stellung nehmen, wenn es einen Antrag stellt. Welche Patienten dürfen das Medikament bekommen? Wieso

können die Patienten nicht an einer klinischen Studie teilnehmen? Welche Erkenntnisse gibt es bisher über die Sicherheit des Wirkstoffs?

Behandlungserfolge während eines Compassionate-Use-Programms fließen nicht in die zukünftige Bewertung des Medikaments ein – unerwünschte Arzneimittelwirkungen hingegen schon, auch von solchen Patienten, die gar nicht die strengen Kriterien der Studie erfüllen. Sollte der Wirkstoff einem Patienten ernsthaft schaden, müssten alle laufenden Studien unterbrochen oder sogar beendet werden.

Warum also hätte sich die Firma Biomarin darauf einlassen sollen, Hannah das Medikament vorzeitig herauszugeben? Aus welchem Grund sollte sich überhaupt irgendein Unternehmen auf Compassionate Use einlassen? Eigentlich gibt es keinen Grund. Mitgefühl ist nicht wirtschaftlich. Das deutsche Gesetz macht Patienten zu Bettlern vor Unternehmen.

Es gibt einen Mann, der diesen Skandal nicht akzeptieren möchte. Christian Johnsen, 59, arbeitet als Pfarrer in Berlin. Als Prediger könne man viel über Ideen zur Verbesserung der Welt reden, sagt er, aber wirklich verändern würden sich Dinge nur, wenn man sie anpacke.

Als Student engagierte er sich bei „Christen für die Abrüstung“, später war er Herausgeber eines Magazins in Leipzig, das die Zeit nach der Wende kritisch begleitete. Derzeit leitet er eine bundesweite Hilfsstelle für evangelische Pfarrer. Christian Johnsen ist ein Mann, der sich um viele Baustellen kümmert.

Als ihm eine Bekannte von dem Fall Hannah erzählte, kam eine neue Baustelle hinzu. Er erfuhr, dass weitere Kinder auf dasselbe Medikament warteten, mindestens zehn. Er versuchte zu erreichen, dass die Betroffenen doch noch in die laufende Studie aufgenommen werden.

Und er hörte den Namen eines anderen Kindes, mit einer anderen Krankheit. Miguel Kit Morales-Laubinger aus Hildesheim, heute 22 Monate alt, Diagnose „infantile spinale Muskelatrophie Typ 1“: Muskelschwund in seiner schlimmsten Form. Der Junge muss mehrfach am Tag umgelagert werden, damit er sich nicht wund liegt. Aus seinem Hals ragt eine Atemkanüle. Seit ihr Sohn krank ist, schlafen die Eltern zusammen mit ihm im Ehebett, um sofort reagieren zu können, wenn er zu ersticken droht.

Im Internet schöpfte die Familie Hoffnung: Die Pharmafirma Biogen testet gerade ein Präparat gegen Muskelschwund, das in ersten klinischen Studien tatsächlich zu helfen scheint. Miguels Vater wandte sich an die Klinik, in der die Studie lief. Und erfuhr, dass Miguel wenige Wochen zu alt war, um daran teilnehmen zu dürfen. Kein Arzt, sagen die Eltern heute, habe



WILMA LESKOWITZCH

Patient Miguel: Hoffnung im Kampf gegen den Muskelschwund

ihnen von der Möglichkeit des Compassionate Use erzählt.

Dann meldete sich Pfarrer Johnsen bei ihnen. Mit Unterstützung von Selbsthilfegruppen versucht er seither, die Firma Biogen zu erweichen, das Medikament zur Verfügung zu stellen.

Johnsen sieht aber vor allem den Gesetzgeber in der Pflicht, den Zugang zu nicht zugelassenen Arzneimitteln zu erleichtern. Vor wenigen Monaten gab der Pfarrer bei dem Bonner Rechtsprofessor Stefan Huster ein Gutachten in Auftrag. Seit Kurzem liegt das Ergebnis vor. Huster sagt, rechtlich sei es schwierig, Pharmafirmen zu zwingen, Medikamente vorzeitig herauszugeben. Der Professor plädiert deshalb für finanzielle Anreize. Es müsse möglich sein, Pharmafirmen die Kosten für die Behandlung zu erstatten. Dafür sei eine Gesetzesänderung erforderlich.

In Ländern wie Frankreich übernehmen Krankenkassen längst die Kosten für Compassionate-Use-Programme. Pharmafirmen und Krankenkassen können dort einen vorläufigen Preis für ein noch nicht zugelassenes Medikament aushandeln. Dadurch stehen viele neue Medikamente in Frankreich früher zur Verfügung als in Deutschland.

Immerhin will das Bundesgesundheitsministerium das Gesetz zu Compassionate Use demnächst überprüfen lassen. Auch bestätigte ein Ministeriumssprecher, dass es ein Treffen mit Vertretern von Biogen gegeben hat – mit derjenigen Firma also, die Hannah Vogel das womöglich lebensrettende Medikament verweigerte. Es sei in dem

Gespräch um die Voraussetzungen für ein Compassionate-Use-Programm gegangen.

Pfarrer Johnsen sagt, man brauche einen langen Atem, um Dinge zu verändern. Im September soll das Rechtsgutachten veröffentlicht werden. Johnsen glaubt, dass eine Gesetzesänderung Menschenleben retten könnte. Zudem gebe das Gutachten Betroffenen die Chance, gegen Unternehmen zu klagen, die mutwillig die Herausgabe neuer Wirkstoffe verweigern.

Johnsen glaubt an die Macht des Rechts. Ronald Brus glaubt an die Macht des Marktes. Sobald ein Markt geschaffen sei, sagt der holländische Unternehmer, fänden Pharmafirmen und Patienten zusammen.

Brus beschäftigt mittlerweile 41 Mitarbeiter in 17 Ländern. Sie füllen Compassionate-Use-Anträge aus, verhandeln mit Behörden, organisieren die Lieferung der Wirkstoffe. Ein Jahr nach dem Start arbeitet seine Plattform bereits mit 16 Pharmafirmen zusammen. Sie nimmt Patienten die Bettelei um Medikamente ab und den Firmen die Bürokratie.

Kritiker sagen, Ronald Brus mache Geschäfte mit dem Leiden von Menschen. Wahr ist: Für jedes Medikament, das er vertreibt, verlangt er von den Pharmaherstellern einen Anteil des vorläufigen Preises. Im Gegenzug liefert Brus den Pharmakonzernen wertvolle Gesundheitsdaten über die Patienten. Ein Branchenkenner sieht noch einen weiteren Grund, warum die Pharmafirmen mit Brus zusammenarbeiten: Sie dürfen für noch nicht zugelassene Medikamente keine Werbung machen. Auf der Internetplattform MyTomor-

rows könnten sie dieses Werbeverbot schrittweise umgehen.

„Wir machen keine Werbung“, widerspricht Brus. „Ich habe eine große Idee.“

Anfang Juli tauchte ein weiteres Medikament auf der Liste des Bundesinstituts für Arzneimittel und Medizinprodukte auf: Biomarin, die Firma, die Hannah Vogel das Medikament gegen Kinderdemenz seit eineinhalb Jahren verwehrt, ist nun doch zu Compassionate Use bereit. Es ist nicht sicher, ob der Wirkstoff Hannah noch helfen kann.

Auch für Miguel aus Hildesheim gibt es Hoffnung. Das Unternehmen Biogen erklärte auf Anfrage des SPIEGEL, sie werde ein Compassionate-Use-Programm starten, noch in diesem Jahr. Und lässt sich doch eine Hintertür offen: Zuvor müsse nachgewiesen sein, dass der Wirkstoff gegen Muskelschwund wirklich helfe und sicher sei.

Hannah und Miguel – am Ende werden die Konzerne mit der Hilfe für die Kinder so lange gewartet haben, bis die Zulassung für die Mittel ohnehin so gut wie sicher ist.

Das Medikament gegen Lungenkrebs, mit dem Ronald Brus seinen Kampf begann, ist am 2. Oktober 2015 in den USA zugelassen worden. Keytruda ist dort seither frei verkäuflich, jeder Patient, dem es verschrieben wird, kann es erhalten.

Ronald Brus aber hat es nicht geschafft, den Wirkstoff rechtzeitig für seinen Vater zu beschaffen.

Piet Brus starb Ende 2012, vier Tage nach Weihnachten.

Vivian Pasquet, Martin Schlak