

# Kampf gegen die Atemnot

**Medizin** Maßgeschneiderte Medikamente aus dem Genlabor sind extrem teuer. Ein Mittel gegen ein erbliches Stoffwechselleiden kostet 300 000 Dollar im Jahr.

Statistisch gesehen ist Paul Quinton seit Langem tot. Als er geboren wurde, lag die Lebenserwartung von Menschen mit der angeborenen Stoffwechselkrankheit Mukoviszidose bei vier Jahren. Paul Quinton ist heute 70 Jahre alt.

Auch wenn das Leiden bei ihm glimpflicher als bei anderen Kranken verlief, kämpfte auch er mit Atemnot. Er wuchs langsam, sein Schweiß schmeckte ungewöhnlich salzig. Mit 19 stellte er anhand solcher Symptome bei sich selbst die trefende Diagnose. Daraufhin beschloss er, Mukoviszidose-Forscher zu werden.

Quinton war es dann, der im Jahr 1983 die wichtigste Ursache der Krankheit entdeckte: Aufgrund eines Gendefekts funktioniert bei den Betroffenen der Transport von Chlorid-Ionen durch die Zellmembranen nicht richtig. Jetzt, mehr als 30 Jahre später, ist ein Medikament auf den Markt gekommen, das den Ionentransport verbessert. Auch Quinton nimmt zweimal täglich die Pille: „Die Anfälle von Atemnot sind seltener geworden.“

Trotzdem empört sich Quinton über Orkambi, wie das neue Mittel heißt. Denn seine Krankenversicherung muss für jede der Pillen 350 Dollar zahlen. Im Jahr kommen so 259 000 Dollar zusammen. „Das Fünffache des mittleren Einkommens in Amerika“, sagt er. „Das ist doch absurd.“ Gemeinsam mit einer Handvoll weiterer Wissenschaftler und Ärzte fordert er, der Preistreiber ein Ende zu setzen.

## Teure Therapien

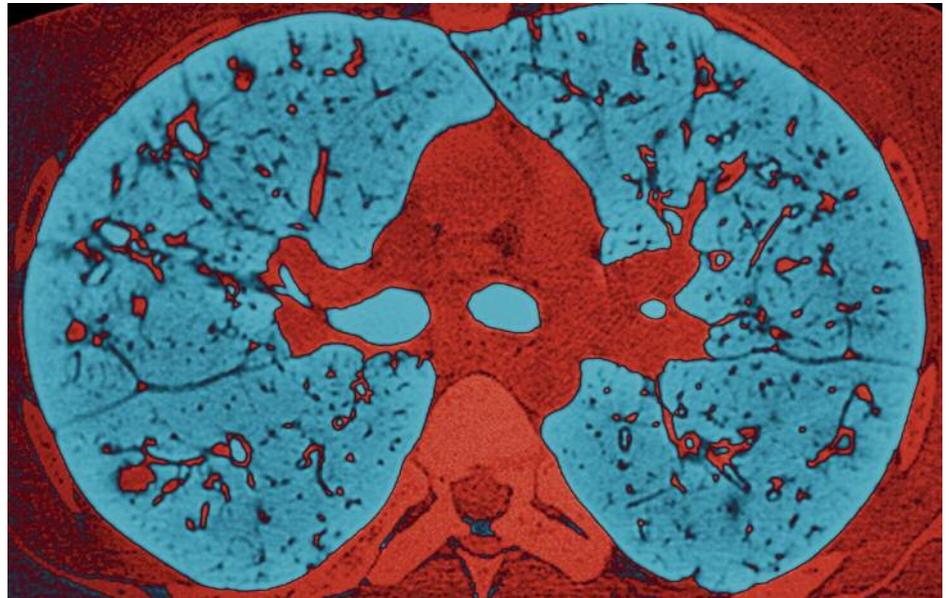
Preise für ausgewählte Medikamentenbehandlungen, in US-Dollar pro Jahr

Orkambi Mukoviszidose	259 000
Kalydeco Mukoviszidose	311 000
Cinryze erbliches Angioödem (allergieähnliche Gesichtsschwellungen)	350 000
Elaprase Hunter-Krankheit (Stoffwechselstörung)	375 000
Soliris paroxysmale nächtliche Hämoglobinurie (PNH: Genmutation in blutbildenden Stammzellen)	409 500
Glybera Lipoproteinlipasemangel (LPD: Stoffwechselerkrankung)	ca. 1,4 Mio.*



Quellen: Value in Health, Nature, Jama

\*Preis für eine Therapie



Lungenaufnahme einer Mukoviszidose-Patientin: Vermehrte Schleimbildung

Die Mukoviszidose, die mit vermehrter Schleimbildung in der Lunge und Funktionsstörungen der Bauchspeicheldrüse einhergeht, ist nur eine von mehreren Tausend bekannten Erbkrankheiten. Sie war eine der ersten, bei der das defekte Gen gefunden wurde – nun gehört sie zu den ersten, bei denen es gelungen ist, das schadhafte Molekül mit Medikamenten-hilfe wieder funktionstüchtig zu machen.

Als neue Form von „Präzisionsmedizin“ wird diese Art molekularer Reparatur gepriesen. Das Mukoviszidose-Mittel steht stellvertretend für eine neue Generation Wirkstoffe, die maßgeschneidert werden, um die Folgen von Gendefekten abzumildern. Orkambi erlaubt damit einen Ausblick auf eine therapeutische Zukunft, die von hoher Wirksamkeit, aber auch von exorbitanten Preisen geprägt sein dürfte.

Die Entwicklung eines Mittels wie Orkambi offenbart das Dilemma: Wie andere Erbkrankheiten, so kann auch die Mukoviszidose durch viele unterschiedliche Defekte des maßgeblichen Gens verursacht sein. Rund 2000 Mutationen sind inzwischen bekannt, mehr als 100 davon führen zur Erkrankung.

Das erste Mittel, das die amerikanische Biotechfirma Vertex entwickelt hat, wirkt gegen die sogenannte Mutation G551D. Das Präparat namens Kalydeco hilft zwar auch bei einigen weiteren Mutationen, trotzdem kommt es nur für etwa 2000 Patienten in den USA infrage. Mit dieser geringen Fallzahl rechtfertigt der Hersteller den schwindelnd hohen Preis: Um die teure Forschung zu amortisieren, verlangt Vertex für Kalydeco 311 000 Dollar im Jahr.

Das zweite Mittel, Orkambi, wirkt bei der häufigsten der Mukoviszidose-Mutationen, die auch Quinton im Erbgut trägt. Immerhin 8500 Patienten in den USA könnten

diese Pillen schlucken. Die Wirkung ist weniger eindrucksvoll als bei Kalydeco, der Preis indes kaum weniger astronomisch.

Wer das verstehen will, muss die Geschichte der Biotechfirma Vertex kennen. Gegründet wurde sie 1989 mit dem erklärten Ziel, das Unmögliche zu vollbringen. Woran die großen Pharmakonzerne scheiterten, das wollte Vertex schaffen.

Sieben Milliarden Dollar investierte das Unternehmen in die Forschung. Immuntherapie, HIV-Medikamente, Hepatitis-pillen – an vielen ehrgeizigen Projekten tüftelten die Vertex-Wissenschaftler. Am Ende jedoch platzte stets der Traum vom ganz großen Geschäft. Nur in einem einzigen Jahr seiner 26-jährigen Geschichte wies das Unternehmen einen Gewinn aus.

Die Wall Street blieb Vertex trotzdem treu. Die Anleger vertrauten auf die stets vollmundigen Versprechen der Vertex-Manager. Auf 34 Milliarden Dollar beläuft sich derzeit der Börsenwert des Unternehmens. Da ist es nicht erstaunlich, dass die Investoren jetzt, wo Vertex mit Kalydeco und Orkambi endlich zwei Produkte am Markt hat, die Ernte einfahren wollen.

Die Folge: Die Vielzahl an Spezialmedikamenten, warnt der Lungenexperte Brian O'Sullivan aus New Hampshire, werde schon bald nicht mehr bezahlbar sein.

Und dabei ist der langfristige Nutzen der neuen Mittel noch nicht einmal erwiesen. Die Ärzte haben im Laufe der Jahre gelernt, mit Physio- und Drainagetherapien, mit Inhalationen, Vitamin-Supplementen und Antibiotika den Alltag der Mukoviszidose-Patienten erträglicher zu machen. Dank solcher Maßnahmen ist die Lebenserwartung der Kranken von 4 auf 40 Jahre gestiegen. Ob Kalydeco und Orkambi das Leben verlängern, weiß niemand.

Johann Grolle

FOTO: MICHEL BRAUNER / ISM / OKAPIA