

## Nebelkerzen, falsche Informationen und eine Ankündigung

### Die Bundesregierung offenbart geringes Interesse an der Entwicklung einer Therapie gegen Amyotrophe Lateralsklerose (ALS)

Wie steht es um die Forschungslandschaft im Bereich der Amyotrophen Lateralsklerose? Und wird die Forschungsförderung der Größe des Problems gerecht? Um diese Fragen dreht sich eine "Kleine Anfrage" der SPD-Bundestagsfraktion vom 10. November 2010. Die Antwort auf die insgesamt 39 Einzelfragen liegt jetzt auf 14 im Bundesministerium für Forschung, Bildung und Technologie (BMBF) verfassten Seiten vor. Sie wurde von vielen ALS-Patienten mit Spannung erwartet. Ergeben sich aus ihr neue Perspektiven für die ALS-Forschung? Wohl kaum.

Die Position der Bundesregierung lässt sich mit folgender Formel zusammenfassen: ALS ist eine seltene Erkrankung – es gibt Forschungsprogramme für seltene Erkrankungen – fertig.

### Bestandsaufnahme

Wie sieht die deutsche Forschungslandschaft im Bereich ALS aus der Sicht der Bundesregierung aus?

*Forschungsprojekte mit direktem Bezug zur ALS werden beispielsweise an den Universitäten Göttingen, München, Jena, Leipzig, Ulm, Tübingen und Würzburg durchgeführt (in alphabetischer Reihenfolge). Zahlreiche Kliniken in Deutschland waren und sind als Studienzentren an der Durchführung klinischer Studien zur Untersuchung potenzieller neuer Mittel gegen ALS beteiligt. Beispielhaft zu nennen sind hier die Charité – Universitätsmedizin Berlin sowie die Universitätskliniken Ulm und Bochum.. (Antwort Frage 4)*

Das ist korrekt, meist handelt es sich aber um kleinere Projekte die zudem aus anderen Quellen als dem BMBF finanziert werden. Das BMBF behauptet zwar:

*Der Bund hat allein in den letzten Jahren mit knapp 50 Mio. Euro die Erforschung neurodegenerativer Erkrankungen, darunter ALS, und deren Grundlagen unterstützt. (Antwort Frage 5)*

Wenn es aber konkret wird, bleibt von diesen 50 Millionen nicht viel übrig. Bei der Auflistung der Projekte, die vom BMBF gefördert werden, erscheinen zunächst drei Projekte aus München, Ulm und Jena, die über das ERA-NET Neuron gefördert werden. Sie haben eine Gesamtsumme von ungefähr 700.000 €, gestreckt über einen Zeitraum von drei Jahren. Dass dies eine geradezu lächerlich niedrige Summe ist, ist offensichtlich auch den Autoren aufgefallen. Deshalb wurden der Liste noch zwei Projekte hinzugefügt. Bei einem handelt es sich um die Entwicklung einer Schluckprothese. Das andere dient der Entwicklung einer Gehirn-Computerschnittstelle, einer Technologie an der sehr viele Institutionen bis hin zum US-Verteidigungsministerium sehr stark interessiert sind. Mit ALS-Therapieforschung haben beide Projekte nichts zu tun.

Aber warum finden sich im umfangreichen Forschungskatalog des BMBF nur drei Projekte, die tatsächlich als ALS-Therapieforschung zu klassifizieren sind? Bei der Begründung der vielen Ablehnungen von Projekten aus diesem Bereich wird den Wissenschaftlern die Schuld gegeben:

*Verschiedene bereits bestehende Fördermaßnahmen wären geeignet, Forschungsprojekte zu ALS zu fördern. Eine Ausweitung der Förderung auf diesem Wege scheitert bislang häufig an der Qualität der Projektskizzen mangelnder Evidenz der vorgeschlagenen Therapieansätze. (Antwort Frage 10)*

Für die ALS-Therapieforschung werden also im Moment pro Jahr etwa 230.000 € vom BMBF an Fördergelder aufgewendet. Für jeden neu hinzu gekommenen Patienten sind das etwa 150 €. Trotzdem kommt die Bundesregierung zu dem Schluss:

*Zusätzliche Maßnahmen sind nach Einschätzung der Bundesregierung nicht erforderlich. (Antwort Frage 13)*

### Warum kein Kompetenznetzwerk für Motoneuronerkrankungen?

Ist die Bundesregierung also der Meinung, dass die Forschungsszene bei ALS auch ohne Förderung des BMBF ausreichend leistungsfähig und umfangreich ist? Nein, denn bei der Erörterung des Themas "Kompetenznetzwerk in der Medizin" kommen die Autoren aus dem BMBF zu einer anderen Bewertung. "Kompetenznetze in der Medizin" sind ein Instrument, mit dem das BMBF seit mehr als zehn Jahren die Forschung bei 21 Krankheitsbildern fördert. Warum, so eine der Fragen, gibt es kein Kompetenznetz für ALS bzw. Motoneuronerkrankungen?

*Eine der wichtigsten Voraussetzungen für die Einrichtung eines Kompetenznetzes ist das Vorhandensein einer hinreichend entwickelten, qualitativ exzellenten Forschungsszene in Deutschland. Im Bereich der ALS-Forschung*

*erreicht die Forschungsszene nicht die kritische Größe für ein Kompetenznetz. Es stehen jedoch in hinreichendem Maße andere Fördermaßnahmen zur Verfügung, um eine Förderung auch im Bereich ALS-Forschung zu ermöglichen und dieses Forschungsfeld in Deutschland zu entwickeln.*

*Zusätzliche Maßnahmen sind nach Einschätzung der Bundesregierung nicht erforderlich. (Antwort zu Frage 13)*

Ist die Forschungsszene bei ALS so viel schlechter ausgeprägt als bei Adipositas, Vorhofflimmern und den anderen 19 Krankheiten, die vom BMBF mit einem Kompetenznetz gefördert werden? Das darf bezweifelt werden. Und wenn es so wäre, wäre das nicht eine erstklassige Begründung dafür, der Forschungsförderung bei ALS eine besondere Bedeutung zukommen zu lassen? Denn, um den parlamentarischen Staatssekretär Thomas Rachel aus dem BMBF zu zitieren:

*"Vernetzte Forschung ist Grundlage für den medizinischen Fortschritt"*

Dem kann man nur zustimmen, und daran ist auch abzulesen dass das Interesse der Bundesregierung am medizinischen Fortschritt bei ALS offensichtlich sehr gering ist.

Einen Hinweis zu den tatsächlichen Kriterien bei der Vergabe von Fördergeldern für Kompetenznetzwerke findet sich auf der Website des Kompetenznetzwerkes Adipositas:

*"Übergewicht beziehungsweise Adipositas gilt als eine chronische Krankheit, welche nicht nur die Lebensqualität erheblich einschränkt, sondern auch zu multiplen gesundheitlichen Schäden führen und die Lebenserwartung verkürzen kann.(2) Dies bedeutet auch eine Kostenbelastung von mindestens 13 Mrd. € pro Jahr für das deutsche Gesundheitswesen."*

Einen derartigen Kostendruck gibt es bei der ALS nicht. Im Gegenteil, gut möglich, dass die ALS die Sozialkassen sogar entlastet. Der typische ALS-Patient erkrankt mit 60 und stirbt innerhalb weniger Jahre, in der Regel ohne in den Genuss von Klinikaufenthalten oder teuren Operationen gekommen zu sein. Die während der Krankheit entstandenen Gesundheitskosten dürfen nicht höher sein, als bei einem Vergleichspatienten der 80 Jahre oder älter wird. Rentenzahlungen entfallen oft komplett.

#### **Ist ALS eine seltene Erkrankung?**

Ein Teil der Fragen der "Kleinen Anfrage" beschäftigt sich mit den Themen "Häufigkeit von ALS" und "seltene Erkrankungen".

*Frage 1. Wie viele Neuerkrankungen an ALS gibt es nach Kenntnis der Bundesregierung jährlich in Deutschland?*

*Antwort: Genaue Daten zur Anzahl der Neuerkrankungen an ALS in Deutschland liegen nicht vor. Epidemiologische Daten zu Neuerkrankungsraten an ALS sind jedoch aus bevölkerungsbasierten Krankheitsregistern in anderen Ländern (Italien, Schottland, Irland, England und den USA) verfügbar. Aus diesen Registern ist bekannt, dass die Neuerkrankungsrate bei 1,5 bis 2,5 Fällen pro 100 000 Einwohner pro Jahr liegt. Hieraus lässt sich für Deutschland hochrechnen, dass pro Jahr wahrscheinlich etwa 1 200 bis 2 000 Menschen neu an einer ALS erkranken.*

Von der aktuellsten, umfassendsten und in der Fachwelt sehr stark beachteten epidemiologischen Studie der Universität Utrecht hat das BMBF offensichtlich noch nichts mitbekommen. Darin wurde nachgewiesen, dass die Neuerkrankungsrate in den Niederlanden bei 2,7 liegt. Auf Deutschland übertragen würde das bedeuten, dass pro Jahr 2250 Menschen an ALS erkranken.

*Frage 2: Handelt es sich nach Einschätzung der Bundesregierung bei der ALS um eine „seltene Krankheit“?*

*Antwort: In der Europäischen Union gilt eine Erkrankung als selten, wenn nicht mehr als fünf von 10 000 Menschen in der EU von ihr betroffen sind. Nach dieser Definition ist ALS eine seltene neurodegenerative Erkrankung.*

Nach der Definition wurde aber nicht gefragt, sondern nach einer Einschätzung. Und eine Einschätzung müsste – etwas Problembewusstsein vorausgesetzt – zu dem Schluss kommen, dass die angesprochene Definition bei Krankheiten die zum Tode führen zu völlig widersinnigen Ergebnissen kommt, da sie nur die lebenden Patienten berücksichtigt (Prävalenz). Je aggressiver der Krankheitsverlauf, desto "seltener" erscheint die Krankheit. Zur Veranschaulichung: eine Krankheit, die innerhalb von drei Tagen zum Tode führt, würde nach dieser Definition auch dann noch als "selten" gelten, wenn ihr innerhalb eines Jahres in Deutschland 4 Millionen Menschen zum Opfer fallen würden. Eine sinnvolle Beurteilung der Häufigkeit gerade bei lebensbedrohlichen Krankheiten berücksichtigt nicht allein die Prävalenz, sondern vor allem die Anzahl der Neuerkrankungen (Inzidenz). Und bei dieser Bewertung liegt die ALS mit der nach neuesten Erkenntnissen etwa

2250 Fällen pro Jahr nur geringfügig unter der von Multiple Sklerose. (Laut Angabe der Deutschen Multiple Sklerose Gesellschaft etwa 2500). Niemand spricht bei Multipler Sklerose von einer seltenen Erkrankung.

Ob die Bundesregierung tatsächlich denkt, dass eine Krankheit wie ALS, an der nach statistischer Erwartung mehr als 100.000 der heute in Deutschland lebenden Menschen erkranken werden als "selten" einzustufen ist, erfahren wir leider nicht.

### **Die Rolle der Pharmaindustrie**

Die Auffassung, dass öffentliche Förderung medizinischer Forschung besonders da ansetzen sollte, wo die Pharmaindustrie aufgrund vermeintlich schlechter Vermarktungschancen passiv bleibt, wird von der Bundesregierung offensichtlich nicht geteilt. Auf die Frage:

*Teilt die Bundesregierung die Auffassung, dass die Finanzierung eines neuartigen Medikaments zur Behandlung der ALS bzw. zur Linderung der Beschwerden von ALS-Kranken aufgrund der vergleichsweise geringen Fallzahlen für die pharmazeutische Industrie nur von begrenztem Interesse sein dürfte, und wenn nein, aus welchen Gründen nicht? (Frage 21)*

Heißt es lapidar:

*"Die Bundesregierung kann Geschäftsmodelle für die Entwicklung einzelner Medikamente zu spezifischen Erkrankungen nicht kommentieren. "*

Immerhin wird der Industrie noch eine warme Empfehlung mitgegeben:

*Es gibt jedoch Beispiele für wirtschaftlich sehr erfolgreiche Medikamente für seltene Erkrankungen. Zur Zeit sind ca. 60 Medikamente in über 70 Indikationen für die Anwendung bei seltenen Erkrankungen zugelassen. Knapp 800 Wirkstoffe haben eine Orphan-Drug-Designation erhalten und befinden sich daher im Entwicklungsprozess. Darunter befinden sich auch sieben Wirkstoffe zur Anwendung bei ALS. (Antwort Frage 21)*

Leider ist auch diese Behauptung falsch. Denn die "Orphan Drug Designation" bedeutet keineswegs, dass das Medikament "in Entwicklung" ist. Und schon gar nicht, dass Patienten jetzt oder in Zukunft Zugriff auf dieses Medikament haben werden. Die "Orphan Drug Designation" bedeutet lediglich ein Schutz der Herstellerfirma vor Konkurrenz, falls das Medikament auf den Markt kommt. Sie ist aber dennoch häufig eine Sackgasse, wenn die Pharmaindustrie die hohen Kosten für eine klinische Prüfung scheut.

Konkretes Beispiel: das Medikament "AX 200" der Firma Sygnis Pharma:

*"SYGNIS hat den präklinischen Nachweis der Wirksamkeit für AX200 zur Behandlung von ALS erbracht. Weiterhin hat die Europäische Kommission SYGNIS die "Orphan Drug Designation" für ALS erteilt. SYGNIS ist derzeit auf der Suche nach Partnern, um AX200 in dieser schweren Indikation klinisch weiterzuentwickeln." (Website der Firma Sygnis)*

Trotzdem liegt das Projekt auf Eis, weil die Herstellerfirma die Kosten für die jetzt anstehenden klinischen Studien nicht aufbringen kann oder will. Für die Bundesregierung ist das kein Thema.

*Frage 21: Ist der Bundesregierung bekannt, dass es Firmen gibt, die zwar Ansätze für eine medikamentöse Behandlung von ALS entwickelt haben, diese jedoch nicht weiterverfolgen können, da sie mangels wirtschaftlich interessantem Markt keinen Investor bzw. Partner finden, der bereit ist, die notwendigen, umfassenden klinischen Studien zu finanzieren, und wie gedenkt die Bundesregierung, dieses Problem zu lösen?*

*Antwort: Dies ist nicht bekannt, da es auch keine diesbezüglichen Anfragen nach wissenschaftlichen Beratungen im BfArM gegeben hat.*

Dass das BMBF behauptet, von der aus Kostengründen stockenden Entwicklung von AX 200 nichts zu wissen, ist ein starkes Stück. Nicht nur, dass eine einfache Internetrecherche ausgereicht hätte. Die Herstellerfirma hat zudem beim BMBF Gelder für die Durchführung der klinischen Studie beantragt. Ohne Erfolg. Offensichtlich hat man beim BMBF auch "keine Kenntnis" von den Anträgen, die man selber abgelehnt hat.

Ein Problembewusstsein über die Rolle der Pharmaindustrie bei Krankheiten wie ALS scheint der Ministerin Schavan und ihren Mitarbeitern völlig abzugehen. Die Erfahrung zeigt, dass große Pharmafirmen in der Regel erst dann auf den Zug aufspringen, wenn ein Therapieansatz mindestens eine Phase 2 Studie absolviert hat (wie aktuell im Fall Knopp in den USA). Es besteht eine dringende Notwendigkeit, die so entstandene Lücke mit öffentlichen Geldern zu schließen. Im BMBF werden dagegen die Forschungsschwerpunkte da gesetzt, wo auch Big Pharma auf der Suche nach der "Billion Dollar Drug" ist: beispielsweise Alzheimer, Parkinson oder Diabetes.

**Deutsches Zentrum für Neurodegenerative Erkrankungen**

Finden sich aus der Sicht heutiger und zukünftiger ALS Patienten gar keine positiven Ansätze in der Antwort der Bundesregierung? Doch, ein Satz in dem Abschnitt über die Rolle der ALS-Forschung im "Deutschen Zentrum für Neurodegenerative Erkrankungen" (DZNE) lässt zumindest Hoffnung aufkeimen. Zum Hintergrund: das DZNE wurde 2009 auf Beschluss der Bundesregierung gegründet. Durch die Auswahl der Standorte wurde es jedoch ausschließlich auf die Erforschung von Demenzkrankheiten und Parkinson zugeschnitten. Ein Antrag von Prof. Ludolph aus Ulm, die Ulmer Universitätsklinik als Standort für Motorneuronkrankheiten einzubeziehen, wurde abgelehnt. Ein Fehler, der nun hoffentlich korrigiert werden soll:

*Große wissenschaftliche Expertise auf dem Gebiet der ALS besteht an der Universität Ulm, mit der das DZNE eine enge Zusammenarbeit plant. Es ist geplant, im Rahmen der Kooperation mit der Universität Ulm diesen Forschungsbereich so bald wie möglich zu initiieren. (Antwort Frage 34).*

Die geplante Einbeziehung des Standortes Ulm in das DZNE war bisher zumindest öffentlich nicht bekannt. Leider bleiben die Autoren der Antwort auch in diesem Zusammenhang sehr allgemein und verweigern jegliche Konkretisierung. Drei weitere Fragen der Anfrage, die auf Art und Umfang der geplanten ALS-Forschung im Rahmen des DZNE abzielen, werden nicht beantwortet.

**Fazit:**

Die Antwort der Bundesregierung auf die "kleine Anfrage" der SPD-Fraktion stellt für alle an der ALS-Forschung Interessierten eine große Enttäuschung dar. Viele Fragen bleiben unbeantwortet, viele Angaben sind ungenau und nicht selten sachlich falsch. Was aber noch schwerer wiegt: es lassen sich keinerlei strategische Ansätze erkennen, der ALS-Forschung in Deutschland neue Impulse zu geben.

Das ist nicht nur eine Ohrfeige für alle heutigen und zukünftigen ALS-Patienten. Es ist auch forschungspolitisch ein großer Fehler. Denn die Forschungslandschaft in Deutschland besitzt trotz mangelnder Förderung ein großes Potenzial. Für den im BMBF formulierten Anspruch "Wir wollen wieder zur Apotheke der Welt werden" bietet die ALS-Therapieforschung zudem ein hervorragendes Betätigungsfeld. Weltweit warten jährlich etwa 120.000 neue ALS-Patienten dringend auf die erste wirksame Therapie. Deutschland bietet sehr gute Voraussetzungen dafür, ein erstklassiger Standort für die ALS-Therapieforschung zu werden. So bieten beispielsweise die ALS-Kliniken in Ulm, Berlin und Hannover eine enge Verzahnung von Wissenschaft und medizinischen Praktikern und damit hervorragende Expertise für die Durchführung klinischer Studien. Gemeinsam mit den an mehreren Universitäten etablierten Projekten der Grundlagenforschung bietet die Forschungslandschaft in Deutschland alle Voraussetzungen, um eine herausragende Stellung im internationalen Konzert der ALS-Forschung einzunehmen.

Voraussetzung dafür wäre jedoch eine Koordinierung und langfristige finanzielle Absicherung. Dies könnte im Rahmen eines Kompetenznetzwerkes verbunden mit einem Forschungsprogramm, aber auch unter dem Dach des DZNE realisiert werden. Zum Nulltarif ist es jedoch nicht zu haben.

Es ist dringend erforderlich, dass das BMBF die bisherige Blockadepolitik aufgibt, sich endlich ernsthaft mit dem Thema ALS-Therapieforschung auseinandersetzt und konkrete Maßnahmen auf den Weg bringt.

Februar 2011

Dirk Peters, Initiative Therapieforschung ALS

Kontakt: [Info@stop-ALS.de](mailto:Info@stop-ALS.de)

weitere Informationen: [www.stop-ALS.de](http://www.stop-ALS.de)