

# Forschungsperspektiven als Teil eines globalen Ansatzes

Bärbel Mündner-Hensen im Gespräch mit NIH Direktor Dr. Stephen C. Groft

Dr. Stephen Groft leitet seit 1992 das Office of Rare Diseases des National Institute of Health (NIH) der USA. Ein besonderer Schwerpunkt seiner Tätigkeit ist die Zusammenarbeit mit Patientenorganisationen, mit dem Ziel Impulse für die Forschung zu geben.

Nach seiner Promotion 1979 in Pharmazie an der Duquesne University in Pittsburg war Dr. Groft u.a. für den öffentlichen Gesundheitsservice für die amerikanischen Ureinwohner, für die Abteilung für Produktentwicklung für seltene Erkrankungen bei der Zulassungsbehörde Food and Drug Administration (FDA) und als geschäftsführender Direktor der nationalen Kommission für seltene Erkrankungen des Gesundheitsministeriums der USA tätig.



Dr. Stephen Groft

Es existieren mehr als 5000 seltene Erkrankungen. Von einer seltenen Erkrankung spricht man, wenn nicht mehr als 5 von 10.000 Menschen davon betroffen sind. Der überwiegende Teil der seltenen Erkrankungen ist mit schweren Beeinträchtigungen des Lebens der Betroffenen und Ihrer Familien verbunden. Es fehlt an Spezialisten und Spezialambulanzen, und oftmals sind keine wirksamen Therapien vorhanden.

*Bei der Behandlung von IC-Betroffenen spielt die Erfahrungsmedizin eine besondere Rolle, weil der behandelnde Arzt kaum auf Medikamente zurückgreifen kann, die eine Indikation des Krankheitsbildes vorweisen. In Deutschland wird das dann nicht von den Krankenkassen bezahlt und obendrein noch den Ärzten als Geldverschwendung angelastet. Bei seltenen Erkrankungen ist der Behandlungsspielraum größer, wenn nachgewiesen werden kann, dass es keine Alternativen gibt. Das Verfahren erfordert eine Zustimmung der Medizinischen Dienste der Krankenkassen und häufig die die Rechtsprechung eines Sozialgerichtes. Die zweifeln jedoch häufig an, dass es sich um eine seltene Erkrankung handele, da es keine zuverlässigen epidemiologischen Zahlen gäbe.*



Barbara Mündner-Hensen im Gespräch mit Dr. Stephen Groft

*Dr. Groft, gibt es überhaupt diese Zuverlässigkeit und sind epidemiologische Studien in den USA einfacher und sicherer?*

„Das ist eine gute Frage, Barbara, die so einfach nicht zu beantworten ist. Ich denke aber, dass es in Deutschland leichter sein wird, Studien über die Prävalenz (Krankheitshäufigkeit) einer Erkrankung zu machen. Sie können bei Krankenhäusern ermitteln wie viele Patienten mit einer bestimmten Diagnose behandelt wurden. Auch die Krankenkassen sollten es da leicht haben die Anzahl von Betroffenen einer bestimmten Erkrankung zu ermitteln. Das setzt natürlich voraus, dass eine richtige Diagnose gestellt wird. Auch die Wirtschaft spielt dabei eine zunehmend große Rolle. Wenn sie ein Produkt für eine Therapie haben, versuchen sie natürlich die Ärzte fortzubilden und somit die Diagnose- und Patientenzahlen zu pushen. Wir wissen ja

wie schwierig es ist, eine richtige Diagnose zu stellen, da bleiben Fehldiagnosen, die auch das Bild der Prävalenz in die eine wie die andere Richtung beeinträchtigen nicht aus.“

*Informationen über Therapien zu erhalten, ist heutzutage per Internet recht einfach. Wie Frau Dr. Annemarie Ziefer, Mitglied des Vorstandes des Malteser Hilfsdienstes e.V. sehr deutlich machte, ist man auch vor Fehlinformationen oder Falschinformationen nicht geschützt. Das erleben wir auch bei der Interstitiellen Cystitis. Ob es sich um bewusste Irreführung, Geschäftemacherei oder gut gemeinte Ratschläge handelt, ist oft schwer herauszufinden. Gibt es Möglichkeiten sich davor zu schützen?*

Dr. Groft: „Sie haben Recht. Wer sich im Internet informiert, sollte sehr genau hinschauen. Es gibt meines Erachtens keinen Schutzmechanismus und auch keine Handhabe gegen Falschinformationen, welcher Art auch immer. Gerade Patienten, die nach jedem Strohhalm greifen sind sehr gefährdet. Aber auch Therapeuten, Krankenkassen oder Gerichte müssen sehr genau hinschauen, bevor sie etwas glauben. Das gilt ganz besonders, wenn die Quelle nicht genau nachvollzogen werden kann.“

*Worin sehen Sie die wichtigsten Aufgaben für die Zukunft der seltenen Erkrankungen?*

Ich denke es ist die Koordinierung der internationalen Zusammenarbeit und der Zugang von Datenbanken. Dabei sollten der Patient und seine Interessenvertretungen im Mittelpunkt stehen. Hier laufen die Fäden aller Beteiligten zusammen: Gesundheitsbehörden, Forschungszentren, Pharmazeutische Unternehmen, Therapeuten, etc. Ich hatte bei meinem Aufenthalt in Berlin daher auch Gespräche mit Repräsentanten des Gesundheitsministeriums, um die Zusammenarbeit zu verbessern.