



Deutscher  
Behindertenrat



BAGP  
BundesArbeits-  
Gemeinschaft der  
PatientInnensteller



Deutsche  
Arbeitsgemeinschaft  
Selbsthilfegruppen e. V.

verbraucherzentrale

Bundesverband

Patientenvertretung im Gemeinsamen Bundesausschuss

## Unverständnis bei betroffenen Familien mit einer seltenen und tödlichen Erkrankung: hohe Wirksamkeit der Enzyersatztherapie bei Kinderdemenz wird angezweifelt

**Berlin, 21.12.2017. Nach Beratung hat der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) heute entschieden, dass dem neuen Wirkstoff Cerliponase alfa nur ein „nicht quantifizierbarer“ Zusatznutzen attestiert wurde. Die Patientenvertretung hat hier für einen beträchtlichen Zusatznutzen votiert.**

„Wir sind sehr enttäuscht über den Beschluss und können die Entscheidung nicht nachvollziehen. Das Arzneimittel zeigt beeindruckend positive Effekte bei den Kindern mit NCL2. Gerade im direkten Vergleich, z.B. bei einem mit der Enzymtherapie behandelten Studienkind mit dem unbehandelten Bruder wird dies ganz klar. Die behandelte Schwester läuft und spricht in einem Alter, in dem der Bruder bereits schwerstbehindert im Rollstuhl saß, immer noch und freut sich ihres Lebens. Wir sehen einfach die unglaublichen Erfolge bei den Kindern.“ so Frau Dyck von der NCL-Gruppe Deutschland e.V., deren Tochter an der Krankheit gestorben ist.

NCL2 ist eine Form der Kinderdemenz NCL, dem Oberbegriff für mehrere genetische Krankheiten, den Neuronalen Ceroid Lipofuszinosen. Allen gemeinsam ist, dass die Gehirnzellen der Kinder absterben und die betroffenen Kinder innerhalb weniger Jahre alle motorischen Fähigkeiten verlieren, dement werden, erblinden, nicht mehr sprechen und essen können und früh sterben.

„Wieso die guten Registerdaten so stark methodisch kritisiert werden, erschließt sich uns nicht. Die Datengrundlagen für diese sehr seltene Erkrankung mit nur ca. 30 Betroffenen in Deutschland sind doch außergewöhnlich gut. Bessere Vergleichsdaten haben wir nicht.“ Natürlich sind sichere Aussagen notwendig, aber die Effekte der Therapie sind so dramatisch, dass das Ableiten eines mindestens beträchtlichen Zusatznutzens auf Grund des historischen Vergleichs gerechtfertigt ist. Die Daten der einarmigen Zulassungsstudie wurden mit den Daten einer historischen Kontrollgruppe verglichen. Diese Daten wurden im Rahmen des DEM-CHILD-Patientenregisters erhoben. Das ist eine fortlaufende, multizentrische und multinationale, klinische und europaweite Datenbank mit Sitz in Hamburg, in der gezielt natürliche Verlaufsdaten für die einzelnen NCL-Formen erfasst werden.

Ansprechpartnerin: Iris Dyck, NCL-Gruppe Deutschland e.V., [irisdyc@ncl-deutschland.de](mailto:irisdyc@ncl-deutschland.de)

Die Patientenvertretung im G-BA besteht aus Vertreterinnen und Vertretern der vier maßgeblichen Patientenorganisationen entsprechend der Patientenbeteiligungsverordnung:

- Deutscher Behindertenrat,
- Bundesarbeitsgemeinschaft PatientInnenstellen und -initiativen,
- Deutsche Arbeitsgemeinschaft Selbsthilfegruppen e.V.
- Verbraucherzentrale Bundesverband e.V.

Die Patientenvertretung im G-BA kann mitberaten und Anträge stellen, hat aber kein Stimmrecht.