

Zeitschrift: Curaviva : Fachzeitschrift
Herausgeber: Curaviva - Verband Heime und Institutionen Schweiz
Band: 87 (2016)
Heft: 11: Nachhaltigkeit : Verantwortungsbewusst, sorgfältig und empathisch leben

Artikel: Bei Neurolaner Ceroid-Lipofuszinose, auch Kinderdemenz genannt, gibt es keine Heilung : wer rettet Klara?
Autor: Meier, Nicola
DOI: <https://doi.org/10.5169/seals-804233>

Nutzungsbedingungen

Die ETH-Bibliothek ist die Anbieterin der digitalisierten Zeitschriften auf E-Periodica. Sie besitzt keine Urheberrechte an den Zeitschriften und ist nicht verantwortlich für deren Inhalte. Die Rechte liegen in der Regel bei den Herausgebern beziehungsweise den externen Rechteinhabern. Das Veröffentlichen von Bildern in Print- und Online-Publikationen sowie auf Social Media-Kanälen oder Webseiten ist nur mit vorheriger Genehmigung der Rechteinhaber erlaubt. [Mehr erfahren](#)

Conditions d'utilisation

L'ETH Library est le fournisseur des revues numérisées. Elle ne détient aucun droit d'auteur sur les revues et n'est pas responsable de leur contenu. En règle générale, les droits sont détenus par les éditeurs ou les détenteurs de droits externes. La reproduction d'images dans des publications imprimées ou en ligne ainsi que sur des canaux de médias sociaux ou des sites web n'est autorisée qu'avec l'accord préalable des détenteurs des droits. [En savoir plus](#)

Terms of use

The ETH Library is the provider of the digitised journals. It does not own any copyrights to the journals and is not responsible for their content. The rights usually lie with the publishers or the external rights holders. Publishing images in print and online publications, as well as on social media channels or websites, is only permitted with the prior consent of the rights holders. [Find out more](#)

Download PDF: 08.02.2026

ETH-Bibliothek Zürich, E-Periodica, <https://www.e-periodica.ch>

Bei Neuronaler Ceroid-Lipofuszinose, auch Kinderdemenz genannt, gibt es keine Heilung

Wer rettet Klara?

Eine Pharmafirma entwickelt ein Medikament, das einem todkranken Kind mit einer seltenen Krankheit helfen könnte. Aber sie rückt das Mittel nicht heraus. Dafür gibt es gute Gründe.

Von Nicola Meier

Angenommen, ein Kind ist todkrank und Sie haben das Medikament, das es retten könnte. Geben Sie ihm das Medikament? Dumme Frage. Natürlich.

Angenommen, ein Kind ist todkrank und Sie haben das Medikament. Angenommen, Sie wissen: Wenn die Rettung schiefgeht, darf niemand anderes mehr das Medikament bekommen. Zehn, vielleicht hundert Kranke, denen das Medikament helfen könnte, werden nicht behandelt werden, weil Sie versucht haben, das eine kranke Kind zu retten.

Was machen Sie? Geben Sie ihm das Medikament, oder lassen Sie es sterben, damit die vielen anderen eine Chance haben? Das ist ja ein absurdes Gedankenexperiment, denken Sie. So eine grausame Entscheidung muss niemand fällen. Irrtum. Das Gedankenexperiment ist gar nicht so weit von der Realität entfernt.

Klara

«Kommen Sie bitte mit Ihrem Mann», hat die Ärztin am Telefon zu Kathrin Brenner gesagt, und: «Kommen Sie ohne Klara.» Es ist der 1. Oktober 2015, als Kathrin und Dominique Brenner sich von ihrem Reihenhaus in Schwentinental bei Kiel auf den Weg zum nahen Epilepsiezentrum machen.

Dieser Beitrag erschien zuerst in der deutschen Wochenzeitschrift DIE ZEIT.

Ein Jahr zuvor hat man bei ihrer Tochter Klara Epilepsie diagnostiziert. Inzwischen ist Klara vier Jahre alt, und die Brenners registrieren immer öfter, wie der Blick ihrer Tochter für einen Augenblick leer wird. Das seien Absencen, erklären die Ärzte, Anfälle, bei denen Klaras Bewusstsein aussetze. Aber wieso hat Klara immer mehr Absencen, trotz der Behandlung? Zehn Tage hat man sie im Epilepsiezentrum untersucht.

Als Kathrin und Dominique Brenner ins Sprechzimmer kommen, ist auch eine Psychologin da.

«Klara hat eine Stoffwechselerkrankung», sagt die Ärztin. Sie ringt mit den Worten, erklärt, dass es für die Krankheit Neuronale Ceroid-Lipofuszinose keine Heilung gibt, keine Therapie.

Kathrin Brenner laufen schon die Tränen über die Wangen. «Klara wird abbauen», sagt die Ärztin, «geistig und körperlich.» «Wie hoch ist die Lebenserwartung?», fragt Dominique Brenner. «Nicht sehr hoch», sagt die Ärztin.

Neuronale Ceroid-Lipofuszinose, kurz NCL, ist eine seltene Krankheit. Wie bei jedem Menschen lagern sich in Klaras Gehirn wachsartige Substanzen ab, Abbauprodukte von Zellen. So wie Staub auf der Fensterbank. Normalerweise transportiert ein Enzym sie ab, putzt also im Gehirn. Durch einen Gendefekt fehlt Klara dieses Enzym. Die Nervenzellen verkleben und sterben nach und nach ab. NCL ist eine Hirnabbauerkrankung wie Alzheimer, sie wird auch Kinderdemenz genannt. Klara wird vergessen, aber nicht nur das. Sie wird auch verlernen, zu sprechen, zu laufen, zu schlucken. Sie wird erblinden. Als Kathrin und Dominique Brenner von der Klinik nach Hause fahren, denken sie: Bloss Klara nichts merken lassen. Sie schmieren Butterbrote, lesen eine Gute-Nacht-Geschichte vor.

«Wir haben Angst um unsere Tochter, können nicht bis zur Zulassung des Medikaments warten.»

>>



Vater Dominique Brenner spielt im Garten mit Klara. Jeden Tag verliert sie Fähigkeiten. Seit kurzem trägt sie einen Helm, weil sie so oft hinfällt.

Fotos: Kathrin Harms

Als Klara schläft, weicht der Schock einer nicht gekannten Verzweiflung. Kathrin Brenner legt sich zu ihrer schlafenden Tochter, hält sie im Arm. Es kann nicht wahr sein, denkt sie. Es darf nicht wahr sein.

Klara, ihr einziges Kind. Leseratte. Pferdemädchen. Pippi-Langstrumpf-Fan.

Dominique Brenner sitzt am Computer, er braucht Fakten, um zu begreifen.

Etwa 700 Kinder in Deutschland haben NCL, liest er. Es gibt 14 bekannte Unterformen. Klara hat die sogenannte spätinfantile Form, NCL2, erste Symptome typischerweise im Alter von drei. Was Dominique Brenner noch liest, ist so grausam, dass er seiner Frau in den nächsten Tagen das Googeln verbietet. Im Schnitt zwischen dem fünften und dem siebten Lebensjahr sind NCL2-Kinder Pflegefälle, angewiesen auf Hilfe rund um die Uhr.

Bis zu Klaras fünftem Geburtstag sind es noch acht Monate.

In den folgenden Tagen wünschen die Brenners sich, was alle Eltern sich wünschen, deren Kind todkrank ist: ein Wunder.

Sechs Tage nach der Diagnose haben Kathrin und Dominique Brenner einen Termin im Hamburger Universitätsklinikum Eppendorf (UKE), wo jeden Donnerstag eine NCL-Sprechstunde stattfindet. Die Ärztin dort spricht von den NCL-Kindern als «ihren Kindern». Von ihr erfahren die Brenners, dass ein Unternehmen in den USA möglicherweise ein Mittel gegen NCL2 gefunden hat, eines, das den Verlauf der Krankheit verlangsamen, vielleicht aufhalten kann.

Es klingt zu gut, um wahr zu sein

Wissenschaftler haben es geschafft, das Enzym, das Klara fehlt, künstlich herzustellen. Nun wird die regelmässige Injektion des Enzyms ins Gehirn der Kinder getestet. Die Studie läuft in der amerikanischen Stadt Columbus, ausserdem in Rom, London und Hamburg. Hier, im UKE, werden 12 Kinder behandelt, insgesamt nehmen 24 Kinder teil. Bei einer Operation wird ihnen erst eine daumennagelgrosse Kapsel unter der Kopfhaut eingepflanzt, in die dann alle zwei Wochen das Medikament gespritzt wird. Von dort sickert der Wirkstoff durch einen Katheterschlauch ins Gehirn. Die Zwischenergebnisse der Studie: vielversprechend. Das Medikament scheint den Krankheitsverlauf zu verlangsamen, bisher ohne schwere Nebenwirkungen. Es klingt zu gut, um wahr zu sein. Das Wunder, das die Brenners sich gewünscht haben: Plötzlich scheint es möglich.

Das Gesetz

Bis zur Zulassung eines Medikaments vergehen normalerweise viele Jahre, mit gutem



Klara, die auf eine Sitzhilfe angewiesen ist, mit ihrer Mutter Kathrin Brenner.

Grund. Strenge Regeln sollen verhindern, dass sich jemals ein Schreckensszenario wiederholt, das sich in die Köpfe der Menschen eingebrannt hat. Das Schlafmittel Contergan war von 1957 an vier Jahre auf dem Markt. Dann stellte sich heraus, dass es bei Schwangeren den Fötus schädigte. Weltweit waren da bereits 10000 Babys mit fehlgebildeten Gliedmassen zur Welt gekommen. Seit dem Contergan-Skandal steht jedes neue Medikament nicht mehr nur für Hoffnung, sondern auch für Gefahr.

Nach der Contergan-Katastrophe wurde in Deutschland das Arzneimittelgesetz mehrfach verschärft. Das heutige, seit 1976 in Kraft, gilt als eines der strengsten der Welt.

Im März 2012, Klara war damals ein neun Monate altes, gesund scheinendes Kleinkind, fand in London der NCL-Kongress statt. Dort gaben Vertreter des US-Pharmaunternehmens BioMarin bekannt, dass Versuche einer Enzyersatztherapie bei Hunden positiv verlaufen seien. Nun starte eine klinische Studie für kranke Kinder.

Im September 2013, Klara war mittlerweile zwei, wurden am Hamburger UKE die ersten drei Kinder mit einer niedrigen Dosis des Mittels BMN 190 behandelt – so lautete das vorläufige Kürzel für das Präparat. Es durften nur Kinder an der Studie teilnehmen, die noch in der Lage waren, zu laufen und mindestens einen Satz zu sprechen. So ist es üblich bei Pharmastudien: Die Probanden sollen krank genug sein, aber nicht zu krank.

Bis ein Medikament zugelassen wird, werden zahllose Tests durchgeführt. Erst an Tieren, dann an Menschen. Unter anderem wird das Medikament normalerweise an Gesunden ausprobiert, um herauszubekommen, welche Nebenwirkungen es hervorruft. Man verabreicht einer Kontrollgruppe Placebos, um sicher zu sein, dass das Medikament überhaupt wirkt. Weil die Gabe von BMN 190 mit einer Operation am Gehirn verbunden ist, verzichtet man in der NCL2-Studie auf einige Schritte. Nur kranke Kinder werden behandelt, keines bekommt ein Placebo. «Kann Klara noch bei der Studie mitmachen?», fragen die Brenners.

«Leider nicht», antwortet die Ärztin. Die Anzahl der Teilnehmer ist begrenzt, die Studie geschlossen.

Eine Krankheit, zu schwer, um bis zur Zulassung des Medikaments zu warten, aber keine Chance, in eine Studie zu gelangen: ein Dilemma, das nicht nur Klara betrifft, sondern viele tausend Menschen auf der Welt. Das deutsche Gesetz sieht deshalb eine Ausnahme vor: Kann eine Krankheit zu einer schweren Behinderung oder zum Tod führen, ist die Gabe eines noch nicht zugelassenen Medikaments erlaubt. *Compassionate use* nennt sich das, Anwendung aus Mitgefühl. Gibt es ausreichende Hinweise auf Sicherheit und Wirksamkeit, kann die Pharmafirma ein Härtefallprogramm einrichten – sie ist aber nicht dazu verpflichtet. Ein solches Programm muss vom Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte, der deutschen Zulassungsbehörde, genehmigt werden. Die Firma haftet dann nicht für Schäden. Aber sie darf auch kein Geld für ihr Produkt verlangen.

«Es gab Momente, da dachte ich: Ist es richtig, dass wir Klara all dem aussetzen?»

Vielleicht kann Klara in so ein Härtefallprogramm aufgenommen werden? Die Brenners verspüren dem Unternehmen gegenüber, das dieses Medikament entwickelt hat, Dankbarkeit. An einer schweren seltenen Krankheit zu leiden ist besonders grausam, denn es gibt besonders wenig Grund für Hoffnung. Die Industrie interessiert sich kaum für seltene Krankheiten. Die Entwicklung eines Medikaments kostet oft Hunderte Millionen, manchmal mehr als eine Milliarde Euro. Geld, das ein

Konzern normalerweise nur investiert, wenn er sich einen hohen Umsatz verspricht – wenn es also viele potenzielle Patienten gibt.

Das Pharmaunternehmen BioMarin wurde 1997 gegründet, seinen Sitz hat es in Kalifornien. Medikamente für die «Waisen der Medizin» zu entwickeln, ist BioMarins Geschäftsidee. Ein Nischenmarkt. Kleine Stückzahlen, kleine Zielgruppe. Aber: hohe Rendite. Fünf

Präparate hat BioMarin auf dem Markt, weitere zehn entwickelt es, darunter das Medikament BMN 190, über das die Brenners jetzt alles wissen wollen.

Zuhause in Kiel suchen sie im Internet – und finden Berichte über Hannah, ein anderes Mädchen aus Deutschland, das NCL2 hat. Hannah bekam ihre Diagnose acht Monate vor Klara, im Februar 2015. Hannahs Eltern baten BioMarin bereits um *compassionate use*. Das Unternehmen lehnte ab. Zeitungen und Fernsehen berichteten.

Vielleicht war es bei Hannah noch zu früh, denken die Brenners, vielleicht hat sich etwas geändert. Am 30. Dezember 2015 schickt das Ehepaar eine E-Mail an die medizinische Leiterin von BioMarin.

Wenn die Alternative der sichere Tod ist

«Betreff: Klara Pauline Brenner, 4 Jahre, Diagnose NCL2

Wie Sie vom UKE Hamburg erfahren haben, gibt es ein «weitere Kind» mit der Diagnose spätinfantile NCL. Wir sind die Eltern von diesem «weiteren Kind».

Sie hängen ein Foto an, schreiben: «Wir haben Angst um unsere Tochter und möchten beziehungsweise können nicht bis zur Zulassung des Medikaments warten. Dies ist unsere einzige Hoffnung, und daher bitten wir Sie inständig: Helfen Sie Klara!»

Die Antwort kommt schnell. Eine freundliche, ausführliche E-Mail. Darin steht, leider könne man zu diesem frühen Zeitpunkt keinen Anträgen für eine Therapie ausserhalb der Studie nachkommen. Erst müsse die Studie ausgewertet werden, die Sicherheit der erkrankten Kinder habe höchste Priorität. Man tue alles,

um die Therapie so schnell wie möglich allen Kindern zur Verfügung zu stellen.

Wir haben Angst um unsere Tochter und können nicht bis zur Zulassung des Medikaments warten. Dies ist unsere einzige Hoffnung, und daher bitten wir Sie inständig: Helfen Sie Klara! E-Mail von Kathrin und Dominique Brenner an das Unternehmen BioMarin

Die Brenners, er Kfz-Mechaniker, sie im öffentlichen Dienst, beide 35, sind überlegte Menschen. Sie wollen nicht vorschnell urteilen. Sie denken: Klara soll kein Medikament bekommen, >>

das nicht sicher ist. Gleichzeitig fragen sie sich: Was ist, wenn «so schnell wie möglich» für Klara zu spät ist? Klaras Wettlauf gegen die Zeit hat längst begonnen. Die Fähigkeiten, die sie in den nächsten Wochen und Monaten verliert, werden für immer verloren bleiben. Was, wenn das neue Medikament ihr noch den Rollstuhl ersparen könnte, das Augenlicht erhalten würde? Wann ist ein Medikament sicher genug? Die Antwort richtet sich danach, wen man fragt. Je gesünder ein Mensch, desto weniger ist er bereit, auch nur das kleinste Risiko einzugehen. Je kranker, desto eher ist er bereit, auch das grösste Risiko in Kauf zu nehmen.

In den USA hat sich eine lautstarke Patientenbewegung formiert, die die Perspektive jener Kranken einnimmt, die zu allem bereit sind. Sie fordert ein *right to try*, das Recht, es zu versuchen: Sterbensranke sollen ein Medikament selbst dann erhalten, wenn gerade erst die Tierversuche abgeschlossen wurden.

Warum nicht alles probieren, wenn die Alternative der sichere Tod ist?

In Deutschland gibt es bisher keine *right to try*-Bewegung. Aber in Berlin liest der Pfarrer Christian Johnsen im vergangenen Jahr in der Zeitung von einer Pharmafirma, die ein rettendes Mittel verweigert. Es geht um Hannah, jenes Mädchen, das acht Monate vor Klara die Diagnose NCL2 bekommen hat.

Johnsen, ein grosser Mann Ende 50, hat sein Büro im dritten Stock eines Plattenbaus in Berlin-Pankow. Er leitet die «Hilfsstelle für evangelische Pfarrer», die eigentlich Theologen unterstützt, wenn sie Opfer von Mobbing wurden. Aber Johnsen kümmert sich auch um andere Missstände. Dass ein Pharmakonzern ein Kind sterben lässt? Für ihn klingt das nach einem gewaltigen Missstand. Er recherchiert. Schnell findet er weitere Fälle, in denen Pharmafirmen ein Medikament verweigert haben. Johnsen kann nicht glauben, dass eine Firma, die ja ein geschäftliches Interesse hat, über Leben und Tod entscheidet. Er kontaktiert Journalisten und das Gesundheitsministerium. Ihn beschäftigt die Frage: Ist die Weigerung von BioMarin, Hannah das Medikament zu geben, unterlassene Hilfeleistung? Er überlegt, ob man wohl vor Gericht klagen könnte. Im *Deutschen Pfarrernblatt* schreibt er im Februar 2016 ein Rechtsgutachten aus.

Das Pharmaunternehmen

In Paris begegnet zu dieser Zeit ein Mann immer wieder dem Namen BioMarin. François Houÿez arbeitet bei Eurordis, einem Bündnis von mehr als 700 Patientengruppen, das sich «Die Stimme der Menschen mit seltenen Krankheiten in Europa» nennt. Houÿez hat gehört, dass nicht nur Hannahs Eltern in Deutschland, sondern auch polnische, serbische und britische Eltern bei BioMarin um das Medikament BMN 190 gebeten haben. Die Medien haben schon berichtet, für Houÿez bedeutet das: Der Konflikt um BioMarin und das NCL2-Medikament ist dabei, zu eskalieren.

«BioMarin hat einen grossen Fehler gemacht», sagt Houÿez. Er meint aber nicht das Nein der Firma auf die Bitte der Eltern. Am 12. Januar 2015 – es sind erst neun Kinder zu Studienzwecken behandelt worden – preist BioMarin in einer Presse-

mitteilung sein neuestes Produkt an. Alle neun Patienten hätten sich stabilisiert, bei sechs von ihnen scheine der Verlauf der Erkrankung sogar gestoppt. Jean-Jacques Bienaimé, der Chef von BioMarin, wird mit dem Satz zitiert: «Diese Therapie könnte einen entscheidenden Unterschied für Kinder mit NCL2 bedeuten.»

Man kann gar nicht anders, es ist ein Reflex

Diese Worte richten sich offenbar an Investoren. BioMarin hat gerade 680 Millionen Dollar ausgegeben, um ein anderes Mittel zu erforschen – ein enormes finanzielles Risiko. Was also liegt näher, als ein Signal zu senden: Seht her, wir haben Erfolg!

Doch François Houÿez sagt: «Am Anfang einer Studie solche Erfolge zu kommunizieren, ist fatal», denn natürlich lesen nicht nur Investoren solche Pressemitteilungen.

Eltern erkrankter Kinder, organisiert in Selbsthilfegruppen, oft über Ländergrenzen und Kontinente hinweg, oft per Facebook, verfolgen jede Veröffentlichung über neue Forschungen, die ihre Kinder retten könnten. So ist es auch mit der Pressemitteilung von BioMarin. Dazu bestimmt, gut in den Ohren von Investoren zu klingen, macht sie Eltern Hoffnung, die zusehen müssen, wie ihre Kinder verlernen, zu laufen, zu sprechen, zu

schlucken. Dennoch antwortet BioMarin auf Anfragen nach dem Medikament, das so erfolgreich scheint: Es ist noch zu früh. Wie sollen die Eltern das verstehen?

In Deutschland richten Hannahs Eltern eine Facebook-Seite ein: «Helft Hannah, 9 Jahre». Auf change.org starten sie die Petition «#SaveHannah». Journalisten werden auf Hannahs Schicksal aufmerksam und berichten, worauf-

hin in Berlin der Pfarrer Christian Johnsen das Rechtsgutachten ausschreibt und in Paris François Houÿez bei BioMarin anruft und eine Einladung ausspricht.

Houÿez, die Stimme der Patienten, ist ein Mann der leisen Töne. Er hält nichts davon, ein Unternehmen anzuprangern. Aus Erfahrung weiss er, dass es gute Gründe geben kann, ein Medikament zurückzuhalten. Bloss findet er: Das Unternehmen sollte sie den Eltern erklären. Seine Idee: ein Treffen auf neutralem Boden in Paris, mit ihm als Mittler. Aber würde BioMarin, eine Firma, die schon am Pranger steht, sich darauf einlassen?

Die Medien

In einer Auseinandersetzung zwischen einem Pharmaunternehmen und den Eltern eines sterbenden Kindes ist es nahezu unmöglich, sich den Emotionen zu entziehen, die das Leid auslöst. Auch für einen Journalisten. Besucht man Klara in diesem Frühling im Abstand weniger Wochen und sieht, wie viel wackeliger ihr Gang in dieser kurzen Zeit wird, wie ihr immer öfter Wörter nicht mehr einfallen, die sie zuvor noch beherrschte, dann denkt man schnell: Was ist das für eine Firma, die diesem Kind ein Medikament verweigert? Man kann gar nicht anders, es ist ein Reflex.

BioMarin zu verstehen fällt umso schwerer, als das Unternehmen gegenüber Journalisten weitgehend schweigt. Die Pressesprecherin verschickt Statements, in denen das Gleiche steht wie damals in der E-Mail an die Brenners: Man nehme die Si-

«Ist es fair, ein Kind zu bevorzugen, weil seine Eltern wissen, wie man Facebook nutzt?»

cherheit sehr ernst. Man tue alles, um die Therapie so schnell wie möglich allen Kindern zur Verfügung zu stellen. Wer Bio-Marin besser verstehen will, muss einen Umweg gehen. Dieser Umweg führt zu Josh Hardy.

Jedes Pharmaunternehmen in den USA kennt die Geschichte dieses Jungen aus Fredericksburg im US-Bundesstaat Virginia. Und wahrscheinlich ist das der Grund für die Wortkargheit der Branche, wenn Journalisten Fragen zum Thema *compassionate use* stellen.

Im Februar 2014 ist Josh Hardy sieben Jahre alt. Er hat Krebs, gerade ist ihm Knochenmark transplantiert worden. Alles ist gut gegangen, aber jetzt ist Josh krank. Adenoviren. Für Gesunde eine harmlose Infektion, für frisch Transplantierte, deren Immunsystem unterdrückt ist, eine tödliche Gefahr.

Joshs Ärzte wissen, dass die Biotechfirma Chimerix in North Carolina ein Medikament entwickelt, das Brincidofovir heisst und gegen verschiedene Viren gut zu wirken scheint, darunter Adenoviren.

Am 12. Februar fragen Joshs Ärzte bei Chimerix an, ob sie das Medikament bekommen können. Sie erhalten eine Absage.

Am 5. März – inzwischen versagen Joshs Nieren – fragen seine Ärzte noch einmal bei Chimerix an. Wieder eine Absage.

Am 6. März schreibt Aimee Hardy, Joshs Mutter, auf Facebook: «Bitte helft uns, unseren Sohn zu retten. Teilt diesen Post, wenn ihr glaubt, dass das Leben eines Kindes wichtiger ist als Geld.»

Was in den folgenden fünf Tagen geschieht, wird in den USA die Debatte um *compassionate use* für immer verändern.

Ein Restaurant in Chapel Hill, North Carolina, 20 Autominuten entfernt vom Sitz der Firma Chimerix. Kenneth Moch hat einem Gespräch sofort zugestimmt und gesagt, er werde sich so viel Zeit nehmen wie nötig. Moch, heute 62, ist der Pharmachef, der Nein gesagt hat.

Das Erste, was er loswerden will: wie sehr er den Begriff *compassionate use* hasst. «Weil er impliziert, man habe kein Mitgefühl, wenn man ein Medikament nicht herausgibt.» Moch sagt: «Glauben Sie nicht eine Sekunde, ich hätte kein Mitgefühl mit Josh gehabt.» Als Nächstes wiederholt er, was er schon gesagt hat, als Josh im Sterben lag: «Es geht nicht um Josh. Es geht um viele Joshs.»

Kenneth Moch tut, was er für seine Pflicht hält

Moch hat Chimerix 2009 übernommen, damals ein 25-Mann-Unternehmen. Die Tests mit dem Medikament Brincidofovir sind recht weit fortgeschritten. Im Juni 2009 erhält Chimerix eine erste Bitte um *compassionate use*, Moch gibt das Medikament heraus. Im September eine zweite Anfrage, wieder gibt Moch das Medikament heraus.

In den nächsten neun Monaten kommen 50 Anfragen. Dann weitere 50 in nur drei Monaten. Bis Ende 2012 sind es insgesamt 430, immer sagt Moch Ja. Zu dieser Zeit läuft eine Förderung der Regierung für Chimerix aus. Der finanzielle Druck steigt.

Moch entscheidet, das *compassionate use*-Programm zu beenden. Alle Gelder sollen nun in die letzten notwendigen Tests fließen, damit das Medikament so schnell wie möglich zugelassen

werden kann. «Es war eine harte Entscheidung», sagt Moch. Er sagt auch, dass er sich noch heute an die Stimme einer Mitarbeiterin erinnert, die in seinem Büro stand, den Tränen nahe, und fragte: «Aber was ist mit den Babys?»

Brincidofovir ist damals eines der zwei Medikamente von Chimerix. An ihm hängt die Zukunft der Firma und die von 55 Mitarbeitern. Das Medikament schnell auf den Markt zu bringen ist eine Entscheidung für den Profit. Aber nicht nur. Auch viele Patienten werden davon profitieren.

So denkt Kenneth Moch damals. Er denkt auch: Angenommen, Josh bekommt das Medikament und stirbt. Vielleicht gefährdet das die Zulassung. Jeder Todesfall wird gemeldet, auch wenn er ausserhalb einer klinischen Studie passiert. Was Moch möglicherweise noch denkt, auch wenn er es so deutlich nicht formuliert: Wenn Josh stirbt, besteht die Gefahr, dass Investoren das Vertrauen verlieren. Niemand will von Investoren hören, wenn es um die Rettung eines Kindes geht. Aber wenn die Firma pleite ist, wird es überhaupt kein Medikament geben.

Es geht beim Thema *compassionate use* immer auch um ein ethisches Dilemma: Was, wenn die sofortige Rettung eines Patienten die spätere Rettung vieler Patienten verhindert? «Zukünftige Patienten» nennen Ethiker sie – und auch ihre Leben

zählen. Sie sind es, die Kenneth Moch meint, wenn er von den vielen Joshs spricht. Ein Leben gegen viele. Moch empfindet es als seine Aufgabe, sich für die vielen zu entscheiden.

Chimerix hat bereits mehr als 300 Anfragen nach *compassionate use* abgelehnt, als Joshs Ärzte Kontakt aufnehmen. Damit gibt es ein weiteres Dilemma. «Wie sollte ich bei Josh Ja sagen, wenn ich bei allen anderen Nein gesagt

hatte?», fragt Moch. «Wie würden Sie sich fühlen, wenn Sie die Eltern eines der anderen Kinder wären?» Es geht nicht nur um Gerechtigkeit für die zukünftigen, sondern auch für die früheren Patienten.

Freitag, der 7. März 2014. Schon am Morgen haben Hunderte Menschen E-Mails an Chimerix geschrieben, das Telefon klingelt und klingelt. Die ersten Journalisten rufen an. Kenneth Moch tut jetzt, was er für seine Pflicht hält: Er erklärt die Zwänge, in denen er steckt, in Zeitungen, im Radio, im Fernsehen. Er hat keine Chance gegen eine Mutter, die auf Facebook Bilder ihres krebserkrankten Sohnes postet. Josh im Krankenhausbett, die Haare ausgefallen, in der Nase ein Sauerstoffschlauch.

Bald gibt es «Save Josh»-T-Shirts, auf Twitter trendet der Hashtag #savejosh. Aimee Hardy zieht in einen digitalen Krieg. Auf Facebook schreibt sie von «Joshs Armee», die gegen Chimerix kämpft. «Josh hat einen weiteren Tag überstanden, und wir werden unerbittlich sein.» – «Ruft die Firma an, ruft den Vorstand an.» – «Meldet euch bei eurem Kongressabgeordneten, Senator, Gouverneur.»

Kenneth Mochs Facebook-Seite füllt sich mit Beschimpfungen: «Wenn Ihre Kinder im Sterben lägen und das Medikament bräuchten ... Aber es ist nicht Ihr Sohn, also tun Sie nicht alles, was Sie können. So einfach ist es. Und so abscheulich.»

Kenneth Moch sagt: «Ich bin immer wieder gefragt worden, was ich tun würde, wenn es mein Kind wäre. Ich habe zwei Söhne, und ja, ich würde alles für sie tun. Der Punkt ist: Ich war nicht der Vater. Ich war der Chef des Pharmaunternehmens.»

>>

«Ich verspreche Ihnen, wenn er stirbt, dann werden Sie sein Gesicht sehen, sobald Sie die Augen schliessen, und zwar für den Rest Ihres Lebens.»

Kenneth Moch sagt: «Niemand sollte denken, dass es als Chef leicht ist, diese Entscheidung zu treffen. Es ist der Horror. Nichts daran ist gut.»

«Sie sind ein Stück Scheisse.»

«Geldgeiles Arschloch.»

«Wir hoffen, Sie sterben, Kindermörder!»

«Wir hoffen, Sie sterben, Kindermörder!»

Als Moch aus einem Fernsehstudio kommt, in dem er ein Interview gegeben hat, erwarten ihn Sicherheitsbeamte. Es lägen E-Mails mit Todesdrohungen vor. Moch darf nicht nach Hause, Polizisten begleiten ihn und seine Frau zu einem Hotel, in dem sie anonym einchecken.

Was Joshs Familie nicht weiss und was auch die Journalisten nicht wissen: Hinter den Kulissen bemühen sich Moch und die amerikanische Zulassungsbehörde um eine Lösung der Krise. Wenn eine weitere Studie zur Wirkung des Medikaments bei Adenoviren, die Chimerix bereits in Planung hat, sofort starten könnte, würde man Josh Hardy als ersten Teilnehmer aufnehmen. Es würde sich nicht um *compassionate use* handeln, aber Josh könnte behandelt werden.

Dienstag, 11. März. Am Abend gibt Chimerix den Start der neuen Studie bekannt. Am Mittwoch beginnt Joshs Therapie. Er überlebt.

«Möge Gott Sie segnen.»

«DANKE DANKE DANKE!!!»

Die *right to try*-Bewegung in den USA wird den Fall Josh Hardy in den folgenden Monaten als Sieg der Patienten verkaufen. Aber ist er es?

Für Arthur Caplan, einen Ethikprofessor an der New York University, nicht. Vor 20 Jahren entwickelte er das System mit, nach dem in den USA Organe für Transplantationen zugeteilt werden. Er ist eine Autorität in Sachen Gerechtigkeit – und einer der heftigsten Kritiker der *right to try*-Bewegung. Caplan traut sich, sehr unpopuläre Dinge zu sagen. Wer nicht über Menschenleben entscheiden sollte, sind seiner Meinung nach:

Eltern schwer kranker Kinder.

Journalisten.

Facebook-User.

Ist es fair, ein Kind zu bevorzugen, weil seine Eltern wissen, wie man Facebook nutzt?

Arthur Caplan, Ethikprofessor

Caplan fragt: «Ist es fair, wenn Josh Hardy ein Medikament bekommt, weil er ein süsser Junge ist? Ist es fair, ein Kind zu bevorzugen, weil seine Eltern wissen, wie man Facebook nutzt? Was ist mit einem kranken Kind, dessen Eltern nicht auf Facebook sind?»

Als Einziger stellt Arthur Caplan sich während des Shitstorms öffentlich an die Seite von Kenneth Moch. Der sagt heute, dass er bei einem neuen Fall Josh alles wieder genauso machen würde. Nur in einer Sache sei er nicht mehr so sicher: dass der Chef eines Unternehmens Stellung beziehen sollte. «Ich dachte, es sei das Richtige. Aber ich konnte sagen, was ich wollte. Niemand hat zugehört.»

«Ich dachte, es sei das Richtige. Aber ich konnte sagen, was ich wollte. Niemand hörte zu.»

Drei Wochen nach dem Shitstorm wird Kenneth Moch von zwei der neun Chimerix-Aufsichtsräte zum Frühstück eingeladen. Sie feuern ihn.

Das Pharmaunternehmen

Viele Pharmachefs haben seither bei Kenneth Moch angerufen. Sie suchen seinen Rat. Sie wollen nicht, dass ihnen das Gleiche passiert wie ihm. Moch sagt, dass er sehr gut verstehen könne, warum BioMarins Chef Jean-Jacques Bienaimé schweigt.

Es ist Anfang Februar 2016, als François Houyez in einem Konferenzraum des Patientenbündnisses Eurordis eine Gruppe von Gästen empfängt. Er hat es tatsächlich geschafft: Fünf leitende Mitarbeiter von BioMarin sitzen Eltern aus verschiedenen Ländern gegenüber, deren Kinder NCL2 haben.

BioMarin teilt ihnen mit, dass es ein *compassionate use*-Programm geben wird. Unter zwei Bedingungen. Die Studie muss gute Ergebnisse bringen. Und die Behörden müssen die Teilnahme an einem beschleunigten Zulassungsverfahren erlauben. Tun sie das, hat das Präparat beste Chancen, auf den Markt zu kommen.

«Wenn die Zulassungsbehörde kein positives Signal gibt», erklärt Houyez, «dann müsste BioMarin vielleicht noch mehr Kinder in einer klinischen Studie behandeln.» Der Start einer neuen Studie wäre aber unmöglich, wenn zu viele Patienten das Medikament schon vor der Zulassung bekommen hätten. Bei einer seltenen Erkrankung wie NCL2 gäbe es vielleicht

gar nicht genug Probanden.

Anfang März 2016 präsentiert BioMarin die Ergebnisse der Studie. Sie sind sensationell. Bei 20 von 24 Kindern ist die Krankheit deutlich langsamer vorangeschritten. «Kindliche Demenz erstmals medikamentös gebremst», schreibt das Hamburger UKE in seiner Pressemitteilung. Die erste Bedingung für ein Härtefallprogramm ist erfüllt.

In Kiel ist die Freude bei den Brenners riesig. Die Eltern sind jetzt sicher: Sie wollen das Medikament für Klara. Noch aber müssen sie weiter warten, noch haben die Behörden kein positives Signal für die beschleunigte Zulassung gegeben. Jetzt, wo die Ergebnisse der Studie da sind, wird das Warten für die Brenners unerträglich. Sie müssen dabei zusehen, wie ihre Tochter jeden Tag ein bisschen mehr abbaut.

Klara trägt jetzt einen Helm, weil sie so oft fällt.

«Wie viel schlimmer kann es noch werden?»

Klara steht jetzt vor dem Waschbecken und hat vergessen, wie das geht: Zähne putzen.

Am 3. Mai 2016 verkündet BioMarin in einer Pressemitteilung, der Teilnahme am beschleunigten Zulassungsverfahren sei zugestimmt worden. Auch die zweite Bedingung ist erfüllt.

Es wird also tatsächlich ein *compassionate use*-Programm geben. Kathrin und Dominique Brenner müssten erleichtert sein. Aber ein Satz macht ihnen Sorgen. Von einer «begrenzten Anzahl von Patienten» ist die Rede. Das bedeutet: Es ist nicht klar, ob Klara behandelt wird. Sie wissen nicht, nach welchen Kriterien Patienten in das Programm aufgenommen werden. Und: Das Programm beginnt voraussichtlich erst im September, in vier Monaten. In der Zeitrechnung, die NCL2 der Familie Brenner aufzwingt, sind das Jahre.



In Klaras Gehirn verkleben die Nervenzellen und sterben ab.

Aus dem Verständnis der Brenners für BioMarin wird Unverständnis, fast Wut. Warum nur dauert das alles so lange? Unter anderem deshalb, weil die Herstellung des künstlichen Enzyms ein halbes Jahr braucht. Die Bioreaktoren, aus denen das Enzym für die Studie stammt, können nur eine begrenzte Menge produzieren. BioMarin hat bereits angefangen, eine grössere Anlage zu bauen. Aber noch ist sie nicht in Betrieb. Wie geht das Unternehmen mit der knappen Ressource um? Wem gibt es das Enzym, so lange nicht genug vorhanden ist? Die Verantwortung einer Pharmafirma besteht darin, ein einzelnes Schicksal gegen viele abzuwägen. Sie muss kühl überlegen, wie sie der grösstmöglichen Anzahl von Menschen helfen kann. So können die Brenners als Eltern unmöglich denken. Für sie geht es nur um ihre Tochter Klara.

Ende Mai beschliessen Kathrin und Dominique Brenner, Klaras fünften Geburtstag um drei Wochen vorzuziehen, ihn statt am 18. Juni am 28. Mai zu feiern.

Klara wird nicht sterben vor ihrem echten Geburtstag. Aber vielleicht wird sie dann schon nicht mehr laufen können. Oder ihre Sprache wird so verwachsen sein, dass die anderen Kinder sie nicht mehr verstehen. Vielleicht wird sie auch wieder einmal so erschöpft sein, dass sie den ganzen Tag schlafen will.

**Wem gibt
die Pharmafirma
das Enzym, solange
nicht genug
vorhanden ist?**

Also steht Kathrin Brenner Ende Mai in der Küche ihres

Reihenhauses, holt einen Rührkuchen aus dem Ofen und glasiert ihn grün, in Klaras Lieblingsfarbe. Mitten auf den Kuchen setzt sie ein weisses Spielzeugpferd mit schwarzen Punkten, der «Kleine Onkel», das Pferd von Pippi Langstrumpf. Sechs Mädchen aus dem Kindergarten werden kommen. Manche Eltern waren erschrocken, als sie von dem vorgezogenen Fest hörten. «Bringt das nicht Unglück?», haben sie gefragt. «Wie viel schlimmer kann es noch werden?», hat Kathrin Brenner gedacht. Sie zieht ihrer Tochter bunte Strumpfhosen an und flicht ihre rückenlangen braunen Haare zu zwei Zöpfen. Klara ist jetzt Pippi, das stärkste Mädchen der Welt, Pippi, die sogar ihr Pferd hochheben kann.

Klara kann jetzt beim Essen die Gabel nicht mehr halten. Klara muss jetzt auf der Toilette festgehalten werden, damit sie nicht vom Sitz kippt.

Im Juni besuchen die Brenners eine Rehamesse in Hamburg, lassen sich erklären, wie ein Pflegebett funktioniert und wie sie ihren Hauseingang mit der steilen Treppe rollstuhlgerrecht umbauen könnten.

«Um wen geht es denn», fragt der Aussteller am Stand, «die Oma, den Opa?»

«Um unsere Tochter.»

Dominique Brenner überlegt längst, wie sie ein neues Auto finanzieren können. Schon das Therapie-Dreirad, das Klara jetzt hat, passt nicht in ihren Opel Astra. Für einen Rollstuhl wäre erst recht kein Platz.

Das Gesetz

Ende Juli bekommt der Berliner Pfarrer Christian Johnsen das Gutachten, das er im Februar in Auftrag gegeben hat. Das Er-

>>

gebnis: Die Weigerung, ein Medikament zu verabreichen, ist keine unterlassene Hilfeleistung. Es gibt nach geltendem Recht keine Möglichkeit, ein Unternehmen zur Herausgabe zu zwingen. Einzig wenn ein Unternehmen ein *compassionate use*-Programm starten und ein bestimmtes Kind ohne nachvollziehbare Gründe davon ausschliessen würde, könnten Anwälte versuchen, dem Unternehmen vor Gericht Willkür nachzuweisen. Dies könnte am ehesten gelingen, wenn der Verlauf bei zwei Kindern etwa gleich weit fortgeschritten wäre und das eine Kind behandelt würde, das andere aber nicht.

Ein Schlupfloch für eine Klage, glaubt Johnsen.

Aber sogar wenn sich ein solcher Willkürverdacht vor einem deutschen Gericht beweisen liesse, bestünde die nächste Hürde darin, die Anerkennung des Urteils in jenem Land durchsetzen zu müssen, in dem das Pharmaunternehmen seinen Sitz hat, im Fall von BioMarin also in den USA. Die Erfolgsaussichten: extrem gering.

Wollte man mehr Patienten Zugang zu neu entwickelten Medikamenten verschaffen, müsste man wohl Gesetze ändern, zum Beispiel so, dass Unternehmen nicht nur etwas zu verlieren hätten bei *compassionate use*, sondern auch etwas zu gewinnen. Denkbar wäre, dass sie die Medikamente nicht mehr kostenlos abgeben müssten. Aber die Debatte über ein solches Gesetz würde lange dauern. Und es würde auch nur einen Anreiz für die Unternehmen schaffen. Es würde nicht dafür sorgen, dass jeder, der will, sofort das neue Medikament bekommt. Das Dilemma lässt sich nicht wegregeln. Aber vielleicht gibt es noch einen anderen Weg. Einen Kompromiss, der Menschlichkeit und Ökonomie miteinander vereinbart.

Fast ein Jahr hat Kathrin Brenner gekämpft

In New York hat vor zwei Jahren der Ethikprofessor Arthur Caplan eine Idee. Er denkt darüber nach, ob man die Entscheidung über *compassionate use* an ein externes Komitee auslagern könnte, das anstelle des Pharmaunternehmens entscheidet. Es ist Zufall, dass Caplan mitten in seine Überlegungen hinein einen Anruf des medizinischen Leiters von Janssen erhält, einem der grössten Pharmaunternehmen der Welt. Janssen stellt das bekannte Durchfallmittel Imodium her, entwickelt aber auch

Wirkstoffe gegen Alzheimer und Krebs. Im Jahr 2014 laufen Tests für ein neues Mittel gegen Knochenkrebs. Der medizinische Leiter entscheidet über *compassionate use*-Anfragen. Eine Aufgabe, die ihm zu schaffen macht. Am Telefon fragt er den Ethikprofessor Caplan: «Wie könnten wir das besser regeln?»

Kurz darauf gründet Janssen mit der New York University das Compassionate Use Advisory Committee, kurz: CompAC. In dem zehnköpfigen Komitee sitzen Patientenvertreter, Ärzte und Ethiker, darunter Caplan selbst. Einige Kollegen, die Caplan für das Projekt gewinnen wollte, haben ihm abgesagt. Über

Leben und Tod zu entscheiden war ihnen, die sich tagein, tagaus beruflich mit der Frage beschäftigen, was richtig ist und was falsch, eine zu grosse Bürde.

Von Juli 2015 an leitet Janssen alle *compassionate use*-Anfragen nach seinem neuen Krebsmedikament anonymisiert an das Komitee weiter. Das Komitee entscheidet jeweils innerhalb einer Woche: ja oder nein.

CompAC sagt im Schnitt bei jedem fünften Patienten Nein – einen Shitstorm gibt es nicht. Das Medikament ist heute zugelassen.

Caplan glaubt, dass Patienten es eher akzeptieren, wenn ein externes Gremium über ihr Schicksal entscheidet, als wenn das ein Pharmaunternehmen tut. CompAC plant als Nächstes ein Projekt mit einem Medikament für Kinder. «Ein härteres Gebiet», sagt Caplan.

Klara

Anfang Juli bewilligt das Bundesinstitut für Arzneimittel, die deutsche Zulassungsbehörde, das *compassionate use*-Programm für BioMarins künstliches Enzym. Die Brenners erfahren davon bei einem Termin im UKE. Immer noch ist unklar, ob Klara teilnehmen darf.

Es beginnen quälende Wochen, jeden Tag warten die Brenners auf einen Anruf, auf ein Ja oder ein Nein. Ende Juli machen sie eine Woche Urlaub in Schweden, besuchen in Vimmerby die Villa Kunterbunt.

Es gab Momente, da dachte ich: Ist es richtig, dass wir Klara all dem aussetzen?

Dann endlich, die Familie ist zurück in Kiel, ruft die Ärztin an. Die Brenners sollen ins UKE kommen. Drei Tage später wird Klara operiert. Unter ihrer Kopfhaut sitzt nun jene Kapsel, durch die das künstliche Enzym injiziert wird, BioMarin hat es mittlerweile auf den Namen Brineura getauft. Nach der Operation weint Klara viel. Ständig sagt sie, dass sie nach Hause will, sie ist völlig erschöpft. «Es gab Momente», sagt Kathrin Brenner einige Tage später, «da dachte ich: Ist es richtig, dass wir Klara all dem aussetzen?»

Am Freitag, dem 26. August, sitzt Kathrin Brenner auf dem Bett der Intensivstation und hält ihre Tochter im Arm. Vier Stunden und 15 Minuten dauert es, bis die Lösung mit der ersten Dosis des künstlichen Enzyms in Klaras Hirn gesickert ist. Fast ein Jahr hat Kathrin Brenner dafür gekämpft, dass ihre Tochter dieses Medikament bekommt. Jetzt kann sie nur hoffen, dass es wirkt, dass BioMarin gute Arbeit geleistet hat. Dieser Firma gegenüber, die sie manchmal verzweifeln liess, empfindet sie heute vor allem eins: Dankbarkeit. ●

Vielleicht gibt es einen Kompromiss, der Menschlichkeit und Ökonomie miteinander vereinbart.

Hinter der Geschichte

Ausgangsfrage: Immer wieder erscheinen Berichte über angeblich skrupellose Pharmaunternehmen, die neue Medikamente zurückhalten. Was steckt wirklich dahinter?

Die Recherche: Den Kontakt zu den Brenners stellte eine Selbsthilfegruppe her. Im April stimmten sie zu, sich begleiten zu lassen. In den folgenden Monaten bekamen sie manchmal Angst vor einer Veröffentlichung. Andere Eltern warnten sie, dass Journalisten ihr Schicksal ausschachten und BioMarin anprangern würden. Das könne den Konflikt mit dem Unternehmen anheizen und so Klara schaden.

Grenzen der Recherche: Sowohl BioMarin als auch das UKE waren trotz mehrfacher Anfragen nicht zu einem Interview bereit. Beide nannten keine Begründung.