

Europäische Initiativen zu Orphan Diseases und Orphan Drugs: Erste Ergebnisse

Peter Liese

Europäisches Parlament
Brüssel

Zusammenfassung

Aufgrund der geringen Anzahl von Patienten mit seltenen Erkrankungen (auf nationaler Ebene) ist Ursachenforschung und Entwicklung von Therapien nur im europäischen Rahmen sinnvoll. Um zu aussagekräftigen Zahlen zu kommen, ist z.B. bei klinischen Prüfungen eine Vielzahl von Patienten notwendig. Dies hat das Europäische Parlament zum Anlass genommen, verschiedene Initiativen zu unterstützen: Das Aktionsprogramm für seltene Krankheiten fördert z.B. die Zusammenarbeit von Selbsthilfegruppen.

Die Ende 1999 beschlossene Verordnung zu den Orphan Drugs unterstützt Unternehmen bei der Entwicklung von Arzneimitteln für seltene Erkrankungen. Mittlerweile sind fünf Medikamente zugelassen, in über 100 Fällen läuft das Zulassungsverfahren. Eine endgültige Bewertung lässt sich zu diesem Zeitpunkt noch nicht vornehmen, da die Zeit zwischen Anerkennung als orphan drug und der endgültigen Zulassung des Arzneimittels und damit der zur Verfügungstellung für die Patienten relativ lang ist.

Schlüsselbegriffe

Medikamente für seltene Erkrankungen, Orphan Drugs, europäische Förderung, Patientenselbsthilfegruppen

Summary

The struggle against rare diseases is a typical european task. As in one memberstate there are always only a few patients, but a lot of patients are needed for a successful work, e.g. in clinical trials, the importance of european engagement is obvious. This is the reason why the European Parliament has taken the occasion to support several initiatives. The action programme on rare diseases supports for instance the cooperation between the self-help organisations. The regulation on orphan drugs, which has been adopted at the end of the year 1999, supports pharmaceutical enterprises developing orphan drugs for the treatment of rare diseases. Meanwhile five such orphan drugs have been granted EU marketing authorisation and in more than 100 cases this procedure is going on. A final evaluation is not yet possible, because the time between designation as orphan drug and the final authorisation, and this means the availability for the patients, is relative long.

Keywords

Orphan Drugs for Rare Diseases, European Support, Patients' Self-Help Groups

Europaweite Initiativen

Den EU-Institutionen und insbesondere dem Europäischen Parlament liegt die Verbesserung der Behandlung von seltenen Erkrankungen seit vielen Jahren am Herzen. Es handelt sich um eine typisch europäische Aufgabe, denn die Zahl der betroffenen Personen ist relativ klein, und um eine effektive Therapie zu entwickeln oder auch nur die Situation der Patienten besser zu verstehen, ist es sinnvoll, möglichst große Gruppen von Patienten zusammenzufassen. Dies geht auf europäischer Ebene natürlich besser als auf nationaler Ebene. Am Beispiel des Morbus Gaucher soll der europäische Mehrwert verdeutlicht werden: die Krankheit betrifft eine von 40.000 Personen, d.h. bei ca. 80 Millionen Einwohnern in Deutschland müsste es 2.000 Patienten geben. Viele dieser Patienten sind jedoch nicht diagnostiziert, melden sich nicht bei Selbsthilfegruppen und sind nicht an Fachambulanzen angebunden. Es liegt in der Natur der Sache, dass in der Europäischen Union mit mehr als viermal so vielen Einwohnern auch mehr als viermal so viele Patienten betroffen sind, d.h. mehr als 8.000 Patienten. Immer dann, wenn eine möglichst große Zahl von Patienten notwendig ist, um z.B. klinische Prüfungen durchzuführen, ist ein europäischer Ansatz dringend erforderlich. Deshalb hat das Europäische Parlament die Initiative ergriffen, Patienten mit seltenen Erkrankungen zu helfen.

EU-Aktionsprogramm für seltene Erkrankungen

Hier ist als erstes das Aktionsprogramm für seltene Krankheiten zu nennen. Es wurde in der vergangenen Legislaturperiode im Mitentscheidungsverfahren zwischen Rat und Parlament beschlossen und gilt von Januar 1999 bis zum 31. Dezember 2003. Dieses Programm fördert vor allen Dingen die Zusammenarbeit von Personen, die im Bereich der seltenen Krankheiten engagiert sind. Folgende Maßnahmen sind laut Anhang des Aktionsprogramms durchzuführen:

- „Förderung des Aufbaus eines Europäischen Netzes von kohärenten und ergänzenden Informationen über seltene Krankheiten und des Zugangs zu diesem Netz, wobei vor allem vorhandene Datenbanken verwendet werden.
- Beitrag zur Ausbildung und Aktualisierung der Kenntnisse der Fachkreise mit dem Ziel, Frühentdeckung, Erkennung, geeignete Maßnahmen und die Prävention zu verbessern.
- Förderung der transnationalen Zusammenarbeit und der Vernetzung von Gruppen, in denen sich Personen, die unmittelbar oder mittelbar von den gleichen seltenen Krankheiten betroffen sind, zusammenfinden, oder von Freiwilligen und der beteiligten Fachkreise sowie Koordinierung auf Gemeinschaftsebene zur Förderung einer kontinuierlichen Arbeit und der länderübergreifenden Zusammenarbeit.
- Unterstützung auf Gemeinschaftsebene der Kontrolle seltener Krankheiten in den Mitgliedstaaten und der Frühwarnsysteme für Cluster sowie Förderung der Vernetzung und Fortbildung von Sachverständigen, deren Aufgabe der Umgang mit seltenen Krankheiten und die rasche Reaktion auf die Erscheinungsbilder der Cluster ist.“ (Aktionsprogramm der Gemeinschaft betreffend seltene Krankheiten (1999-2003), 29.4.1999).

Der Aktionsplan der EU-Kommission für seltene Krankheiten („action programme on rare diseases“) wird mit Ende des Jahres 2002 in das neue „Aktionsprogramm der Gemeinschaft

im Bereich der öffentlichen Gesundheit (2003-2008)“ aufgehen. Im Anhang wird zum Thema Aktionen und Unterstützungsmaßnahmen unter Punkt 2 als eines der Ziele aufgeführt: „die Verbesserung der Fähigkeit, schnell und koordiniert auf Gesundheitsgefährdungen zu reagieren, durch (2.3.) Entwicklung von Strategien und Mechanismen für Prävention, Informationsaustausch und Reaktion in Bezug auf Gefährdungen durch nichtübertragbare Krankheiten, einschließlich geschlechtsspezifischer Gesundheitsgefährdungen und seltener Krankheiten“.

Viele Betroffene fürchten, dass das gerade erst initiierte Unterstützungsprogramm für die Erforschung und Behandlung seltener Erkrankungen aufgrund der programmatischen Verbreiterung der Forschungsförderung nicht mit den anderen konkurrierenden Projekten im Bereich des Gesundheitswesens mithalten kann. Darum ist bewusst darauf hinzuwirken, dass dies nicht geschieht.

EU-Orphan Drug-Verordnung 2000/141/EG

Ein weiteres wichtiges Instrument zur Unterstützung von Menschen mit seltenen Krankheiten hat die EU mit ihrer Orphan Drug-Verordnung 2000/141/EG vom 16.12.1999 geschaffen, wenn auch mit zeitlicher Verzögerung vor etlichen Jahren. Mittels dieser Verordnung sollen den pharmazeutische Unternehmen Anreize gegeben werden, Medikamente zur Therapie von seltenen Erkrankungen zu entwickeln. Aufgrund der geringen Patientenzahlen und der zum Teil sehr hohen Kosten für die Entwicklung eines Medikamentes haben sich pharmazeutische Firmen vor Einführung dieses Instrumentes kaum um die Zulassung von Arzneimitteln für seltene Krankheiten bemüht. Die EU baut mit der Orphan Drug-Verordnung auf den langjährigen Erfahrungen in den USA und Japan auf. Sehr spät hat Europa trotz der guten Erfahrung in den USA die Initiative ergriffen. Dies liegt an der jahrelangen zögerlichen Haltung der Europäischen Kommission. Da sie das Initiativrecht besitzt, kann das Europäische Parlament und der Ministerrat ein Gesetzgebungsverfahren

nur dann verabschieden, wenn ein Vorschlag von der Kommission vorliegt. Nach Vorlage des Kommissionsvorschlages haben Rat und Parlament in einem verkürzten Verfahren die Verordnung angenommen. Um die Kosten für die Zulassung von Arzneimitteln zu reduzieren, wurden folgende Anreize für die pharmazeutische Industrie geschaffen:

1. Wissenschaftliche Beratung bei der Erstellung des Prüfplanes, die die Aussicht auf positive Bescheidung des Antrages optimiert.
2. Gebührenminderung oder -erlassung für das Antragsverfahren aus jährlich festzusetzenden Mitteln der Europäischen Kommission.
3. Direkte Zulassung der als für seltene Leiden anerkannten Arzneimittel zum zentralisierten Genehmigungsverfahren für das Inverkehrbringen. Zeitgleiche Zulassung in allen Mitgliedstaaten.
4. 10-jähriges Exklusivitätsrecht nach erfolgter Genehmigung für das Inverkehrbringen eines Arzneimittels für seltene Krankheiten.

Außerdem ist in einem rechtlich nicht verbindlichen sogenannten Erwägungsgrund festgehalten, dass die Mitgliedstaaten die Steuern für die beteiligten Unternehmen reduzieren können. Diese steuerliche Begünstigung, die in den USA einen besonders großen Anreiz mit sich bringt, konnte in Europa nicht bindend durchgesetzt werden, da eine steuerliche Gesetzgebung in der EU immer einstimmig verabschiedet werden muss. Realistischerweise ist die Europäische Kommission bei ihrem Vorschlag davon ausgegangen, dass eine verbindliche Regelung zur Steuervergünstigung nicht durchsetzbar war. Trotzdem ist es sicher dringend notwendig, dass auf nationaler Ebene Steuervergünstigungen gewährt werden.

Prüfung von Orphan Drug-Anträgen

Um die Anträge zur Ausweisung eines Arzneimittels als Orphan Drug zu prüfen, wurde von der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA – „European Agency for the Evaluation of Medicines

nal Products“) im April 2000 eigens ein spezieller Ausschuss für Arzneimittel für seltene Leiden (COMP - „Committee for Orphan Medicinal Products“) eingerichtet. Er besteht aus je einem von jedem Mitgliedsland ernannten Vertreter, drei Vertretern von Patientenorganisationen, sowie drei weiteren von der EMEA selbst benannten Mitgliedern. Es ist das erste Mal in der Geschichte der Europäischen Arzneimittelagentur, dass auch Patientenvertreter in einen wissenschaftlichen Ausschuss berufen wurden. Der Ausschuss berät die Antragsteller bei der Erstellung von Prüfplänen für eben jene Arzneimittel, die für die Behandlung seltener Leiden entwickelt werden sollen. Das Procedere ist wie folgt: Nach Einreichung eines entsprechenden Antrages bei der EMEA erstellt der COMP-Ausschuss innerhalb von 90 Tagen ein Gutachten, das er der EU-Kommission übermittelt. Innerhalb weiterer 30 Tage hat die Kommission über das Gutachten zu entscheiden. Die Entscheidung wird dann im Gemeinschaftsregister publiziert. Auch bei positiver Entscheidung hat die Genehmigung für das Inverkehrbringen dieses Arzneimittels dann aber noch wie für alle anderen Arzneimittel über einen gesonderten Antrag zu erfolgen, in dessen Verlauf es auf Qualität, Sicherheit und Wirksamkeit überprüft wird.

Jährlicher Bericht über das Orphan Drug-Projekt

Die EMEA hat entsprechend Artikel 7.2 der Verordnung 2000/141/EG zufolge jährlich einen Bericht über das Orphan Drug-Projekt hinsichtlich dessen finanzieller Unterstützung durch die Gemeinschaft vorzulegen. Für das Jahr 2001 tat sie dies am 15.3.2002 (EMEA/34655/02). In diesem Bericht legte sie u.a. dar, dass es sich bei den Pharmafirmen, die Anträge für die Anerkennung eines Arzneimittels zur Behandlung eines seltenen Leidens gestellt haben, zu 75% um kleine, zu 12% um mittlere und zu 11% um große Unternehmen gehandelt hat. In drei Fällen (2%) hätten Krankenhäuser oder Einzelpersonen den Antrag gestellt. Diese Zahlen belegen die Notwendigkeit der finanziellen Unterstützung. Im Jahr 2001 hat die EU 1.300.000 EURO für die Ermögli-

chung der Gebührenminderung zur Verfügung gestellt, wobei eine 80%ige Reduktion für die Beratung bei der Prüfpfanaufstellung sowie eine 50%ige Reduktion bei allen anderen anfallenden Gebühren beschlossen wurden. Für das Jahr 2002 stehen nun im EU-Haushalt 3.300.000 EURO bereit, sodass die Gebühren für die genannte Beratung zu 100% erlassen werden können.

Weiterhin heißt es in dem Bericht, dass im Jahre 2001 83 Anträge für die Anerkennung eines Arzneimittels zur Behandlung eines seltenen Leidens eingegangen waren und weitere 46 Anträge in Aussicht gestellt wurden. 88 positive Gutachten wurden vom COMP-Ausschuss erstellt, dabei handelte es sich in über der Hälfte der Fälle um Arzneimittel zur Therapie von Krebserkrankungen, Krankheiten immunologischen Ursprungs und metabolischen Störungen, die vielfach mit Enzymdefekten einhergehen.

Erste Vermarktungsgenehmigungen für Orphan Drugs

Im Jahre 2001 wurden auch die ersten drei Genehmigungen erteilt, anerkannte Arzneimittel zur Therapie von seltenen Erkrankungen in Verkehr zu bringen. Es handelt sich dabei um Fabrazyme® und Replagal® zur Behandlung von Morbus Fabry, eines genetisch bedingten Enzymdefektes, von dem ca. 500 bis 1000 EU-Bürger betroffen sind, sowie um Glivec® zum Einsatz bei chronisch-myeloischer Leukämie, einer Form von Blutkrebs, an der etwa 33.000 Menschen in der EU leiden. Dem Newsletter Nr. 9, Spring 2002, von EURORDIS zufolge wurde im März 2002 Trisenox®, einem Zelltherapeutikum zum Einsatz bei anderweitig erfolglos therapierter akuter promyelotzytärer Leukämie (APL) die Vermarktungsgenehmigung erteilt. Desweiteren wurde im Februar 2002 von der EMEA die schnelle Vermarktungsgenehmigung für Tracleer® zur Behandlung der pulmonalen arteriellen Hypertension empfohlen. Diese Genehmigung erfolgte – wie auch bei den zwei zuvor genannten Medikamenten – aufgrund der Seltenheit der Erkrankung unter besonderen Auflagen, wie z.B. dem EMEA-Ausschuss CPMP (Committee for Proprietary Me-

dicinal Products) jährlich einen Bericht zur Genehmigung des Inverkehrbringens vorzulegen. Darüber hinaus liegen der EMEA nach Angaben des genannten Newsletters bereits zehn weitere Anträge zur Marktzulassung von Medikamenten für seltene Krankheiten vor.

Öffentlicher Zugang zu Orphan Drug-Registern und -Gutachten

Neben dem Jahresbericht veröffentlicht die EMEA nach jeder COMP-Ausschuss-Sitzung eine Pressemitteilung mit den neuesten Daten. Die zur Zeit der Verfassung dieses Artikels aktuellste Mitteilung datiert vom 19.7.2002 (EMEA/18077/02). In ihr wird mitgeteilt, dass inzwischen 191 Anträge eingereicht wurden, von denen 114 mit einem positiven Gutachten beschieden wurden, denen die EU-Kommission bislang in 105 Fällen zugestimmt hat. 54 Anträge sind zurückgezogen worden. Nach der Anerkennung eines Arzneimittels zur Therapie eines seltenen Leidens durch die EU-Kommission wird dieses in ein entsprechendes öffentliches Register aufgenommen und die Zusammenfassung des Gutachtens ebenfalls publiziert (www.emea.eu.int/htms/human/comp/compsumop.htm), womit der Zugang interessierter Kreise zu diesen Informationen hergestellt ist. In diesen Zusammenfassungen werden kurz die in Frage stehenden seltenen Erkrankungen geschildert, die zur Zeit verfügbaren Behandlungsmethoden, die Anzahl der betroffenen EU-Bürger, die erwartete Wirkungsweise des betreffenden Arzneimittels sowie dessen gegenwärtiges Entwicklungsstadium. Ebenso werden Kontaktadressen der antragstellenden Pharmafirmen genannt und – falls verfügbar – auch solche von Patientenverbänden.

Eine endgültige Bewertung der Orphan-Drug-Verordnung lässt sich zu diesem Zeitpunkt noch nicht vornehmen, da die Zeit zwischen Anerkennung als orphan drug und der endgültigen Zulassung des Arzneimittels und damit der zur Verfügungstellung für die Patienten naturgemäß relativ lang ist.

6. Forschungsrahmenprogramm der EU

Eine weitere Aktivität des Europäischen Parlaments ist die direkte Förderung von Forschungsvorhaben zur Bekämpfung von seltenen Krankheiten durch das 6. Forschungsrahmenprogramm der EU. Auf Initiative des Europäischen Parlaments wurde die Therapie seltener Erkrankungen zu einer der vorrangigen Prioritäten im 6. Forschungsrahmenprogramm. Wichtig war dabei, dass auch therapeutische Ansätze verfolgt werden, die nicht im engeren Sinne mit Humangenetik und Biotechnologie verbunden sind. Das Beispiel Mukoviszidose zeigt, dass durch die Verbesserung der klassischen Therapie eine erhebliche Verbesserung von Lebensqualität und Lebenserwartung erreicht werden kann, während der Durchbruch in der Gentherapie noch auf sich warten lässt. Daher ist es sicher sinnvoll, beide Ansätze parallel weiterzuentwickeln.¹

Neben den sehr positiven Entwicklungen, die im Bereich seltener Erkrankungen und deren Behandlung durch die Initiativen auf europäischer Ebene eingeleitet wurden, darf nicht übersehen werden, dass durchaus noch Verbesserungen nötig sind und neue Aufgaben hinzukommen müssen. So sollte z.B. überdacht werden, ob Antragsteller im Rahmen der Orphan-Drug-Verordnung für die Anerkennung eines Medikaments zur Therapie eines seltenen Leidens wirklich vorab in der Lage sein können, einen signifikanten Nutzen dieses Arzneimittel zu belegen, oder ob diese Auflage nicht eher abschreckende Wirkung hat und somit die Chance auf neue effektive Arzneimittel vertan wird. Die interinstitutionelle Koordination sollte optimiert und die tatsächlich benötigten Bearbeitungszeiten möglichst verkürzt werden. Da die im COMP-Ausschuss anfallenden Arbeiten sehr vielfältig sind, wäre eine Aufstockung seiner finanziellen Mittel hilfreich. Eine weitere Überlegung könnte sein, Medikamente für die Behandlung von gravierenden Krankheiten zu unterstützen, die zwar nicht primär in EU-Ländern, aber in „Entwicklungsländern“ auftreten (Le Cam, Mail).

Markteinführung von Orphan Drugs

Von ganz entscheidender Bedeutung ist, dass Medikamente für seltene Erkrankungen nicht nur existieren, sondern dass sie den Patienten auch zur Verfügung gestellt und von den Krankenkassen bezahlt werden. Was nützt uns der größte Fortschritt der Medizin, wenn die, die ihn benötigen, sich die teuren Medikamente nicht leisten können. Bei aller Notwendigkeit zum Sparen im Gesundheitssystem gibt es keinen Zweifel, dass die Patienten ein Recht auf eine bestmögliche Behandlung haben. Dass dies nicht immer der Fall ist, möchte ich wieder am Beispiel Morbus Gaucher verdeutlichen: seit einigen Jahren gibt es ein wirksames und gut verträgliches Medikament (Cerezyme®) zur Behandlung von Morbus Gaucher, welches von der Firma Genzyme auf der Grundlage von genetisch veränderten Mikroorganismen produziert wird. Die Entwicklung wurde durch das amerikanische Orphan-Drug-Gesetz ermöglicht. Die Behandlung ist allerdings sehr teuer. Daher scheuen viele Ärzte wegen des Budgetzwangs die Verordnung. Auch wenn das Budget nach heftigen Diskussionen mittlerweile aufgehoben ist, so bestehen trotzdem weiterhin Probleme. Zusätzlich war das Medikament seit September 1999 über einen längeren Zeitraum im gemeinsamen Aktionsprogramm des Bundesgesundheitsministeriums, der Kassenärztlichen Bundesvereinigung und der Spitzenverbände der Krankenkassen unter der Kategorie 8, d.h. es musste vor der Verordnung eine Zweitmeinung eingeholt werden, da die Wirkstoffe als Substanzen mit umstrittenen oder therapeutisch geringfügigen Zusatznutzen eingestuft wurden. Nach Ansicht aller Experten für Morbus Gaucher war diese Eingruppierung problematisch und nach Ansicht der Patienten führte sie dazu, dass es noch schwieriger wurde, das Medikament verordnet zu bekommen.

EURORDIS: der europäische Patientenzusammenschluss

Von unschätzbbarer Bedeutung ist die Arbeit von Patientenorganisationen, die die Belange ihrer Mitglieder in den verschiedenen Bereichen vertreten. In

vielen EU-Mitgliedsstaaten haben diese Organisationen sich zu nationalen Verbindungen zusammengeschlossen und zehn dieser nationalen Zusammenschlüsse (Belgien, Dänemark, Deutschland, Frankreich, Großbritannien, Italien, Niederlande, Portugal, Spanien, Schweden) sind inzwischen wiederum Mitglied bei EURORDIS, einer in Frankreich angesiedelten Schirmorganisation für von seltenen Erkrankungen Betroffenen, der darüber hinaus auch noch weitere Mitglieder angehören. Gerade EURORDIS – 1997 gegründet – hat sich auf europäischer Ebene für die Annahme und Anwendung des eingangs genannten Aktionsplans sowie der ebenfalls genannten Verordnung eingesetzt. Ziele sind, seltene Erkrankungen und die damit verbundenen Probleme in das öffentliche Bewusstsein zu rücken und Behandlungsmöglichkeiten über Ländergrenzen hinweg zu fördern. Zwei der drei von Patientenorganisationen im COMP-Ausschuss der EMEA vertretenen Mitglieder gehören zu EURORDIS. Mehrere Projekte und Arbeitskreise zu verschiedenen Fragestellungen sind von EURORDIS ins Leben gerufen worden. So wird u.a. die Verfügbarkeit von Arzneimitteln für seltene Krankheiten in den verschiedenen Mitgliedstaaten untersucht, wobei sich bislang teilweise große nationale Unterschiede hervorgetan haben sollen. Ziel von EURORDIS ist es, allen betroffenen EU-Bürgern den Zugang zu zugelassenen Arzneimitteln für seltene Leiden für zu ermöglichen. Ein weiteres Augenmerk richtet EURORDIS auf die Kostenrückerstattung. Sie sammelt Daten über positive Effekte, Risiken und Nebenwirkungen der verwendeten Arzneimittel. EURORDIS steht auch im Kontakt mit außereuropäischen Institutionen, die sich mit den gleichen Themen befassen.

Auch deutsche Patienten sind in EURORDIS engagiert vertreten. Ansonsten muss leider festgestellt werden, dass Selbsthilfegruppen und Patientenvertreter aus Deutschland auf der europäischen Bühne bei Diskussionen um die Gesetzgebungsverfahren nur eine untergeordnete Rolle spielen. Vertreter aus den Niederlanden und Großbritannien sind zum Beispiel sehr viel engagierter. Dort ist allerdings teil-

weise festzustellen, dass es keine klare Trennung zwischen Industrieinteressen und Patienteninteressen gibt. Oft werden Patienten von Vertretern der pharmazeutischen Industrie vorgeschoben, um die Interessen der Industrie zu artikulieren. Eine solche „Zusammenarbeit“ stößt bei deutschen Patientenvertretern zu Recht auf Skepsis. Das Problem ist aber, dass Selbsthilfegruppen aus Deutschland oft nicht die finanziellen und personellen Möglichkeiten haben, sich an der europäischen Debatte zu beteiligen und ihre ureigensten Interessen zu artikulieren. Daher halte ich es für dringend erforderlich, für diesen Zweck öffentliche Mittel einzusetzen. Denkbar wäre z.B., aus öffentlichen Mitteln eine Stelle bei der Bundesarbeitsgemeinschaft Hilfe für Behinderte (BAGH) einzurichten, die sich nur mit europäischen Angelegenheiten beschäftigt. Diskussionen über wichtige Entscheidungen wie z.B. über das europäische Arzneimittelrecht, das gerade von Parlament und Rat revidiert wird, über die Prioritäten der europäischen Forschungspolitik und auch die Debatte um die Zukunft der Europäischen Union im Konvent dürfen nicht ohne eine starke Stimme der deutschen Patientenvertreter geführt werden.

Anmerkung

¹ Die Ausschreibung für konkrete Projekte innerhalb des 6. Forschungsrahmenprogramms hat im Dezember 2002 begonnen. Förderanfragen zu Forschungsvorhaben im Bereich der seltenen Erkrankungen sind an die nationale Kontaktstelle Lebenswissenschaften zu richten: Ansprechpartner Dr. H. Lehmann, Tel.: 0228/447-696, Fax.: 0228/447-699, hans.lehmann@dlr.de

Literatur

Beschluss Nr. 1295/1999/EG des Europäischen Parlaments und des Rates zur Annahme eines Aktionsprogrammes der Gemeinschaft betreffend seltene Krankheiten innerhalb des Aktionsrahmens im Bereich der öffentlichen Gesundheit (1999–2003) (29.4.1999).

EMA, COMP-Ausschuss, Internetzugangsseiten, <http://www.emea.eu.int>

EMA-Jahresbericht (2001) bzgl. seltener Arzneimittel (EMA/9282/02/146).

EMA-Pressemitteilung zur 26. Zusammenkunft des COMP-Ausschusses (EMA/18077/02). (19.07.2002)

EURORDIS-National Alliances, http://www.eurordis.org/GI/Nat_all-ang.htm

EURORDIS-Newsletter N. 9 (Spring 2002).

Gemeinsamer Entwurf betreffend den Beschluss des Europäischen Parlamentes und des Rates über ein Aktionsprogramm der Gemeinschaft im Bereich der öffentlichen Gesundheit (2003–2008) nach Billigung durch den Vermittlungsausschuss am 15.5.2002 (PE-CONS 3627/02).

Le Cam Y, Direktor von EURORDIS und stellvertretender Vorsitzender des COMP-Ausschusses der EMA (23.5.2002): Antwort-Mail an Peter Liese.

Register der zur Therapie seltener Leiden anerkannten Arzneimittel (Stand 27.5.2002) <http://pharmacos.eudra.org/F2/register/orphreg.htm>

Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates über Arzneimittel für seltene Leiden (16.12.1999).

Korrespondenzadresse

Dr. med. Peter Liese, MdEP
Europäisches Parlament
Rue Wiertz, ASP 10 E 153
B - 1047 Brüssel
Tel.: 0032-2-284.5981
Fax: 0032-2-284-9981
pliese@europarl.eu.int
www.peter-liese.de