

# muko.info

Bessere  
Lungenfunktion?

Nebenwirkungen?

Weniger Infekte?

Schwerpunkt-Thema

**CFTR-Modulatoren:  
Wie wirken die neuen  
Therapien?**



**MUKOVISZIDOSE** e.V.  
Helfen. Forschen. Heilen.



IDEAL AUFEINANDER

ABGESTIMMT



**Für die unkomplizierte Antibiotika-Therapie,  
in jeder Packung enthalten:**

- Ein eFlow<sup>®</sup>rapid Vernebler
- Antibiotikum für 28 Tage
- Isotone Kochsalzlösung in praktischen Ampullen





## Aus der Redaktion

**16.–18.11.2017** Ca. 800 Teilnehmer bei der Deutschen Mukoviszidose-Tagung in Würzburg: Therapeuten und Ärzte diskutierten drei Tage lang ihre Erfahrungen, neue Erkenntnisse und Fortschritte in der Therapie der Mukoviszidose (Bericht Seite 36)

**08.10.2017** Einen Verein wie den Mukoviszidose e.V. zu leiten, fühlt sich manchmal wie ein Marathonlauf an. Dadurch gestärkt, ist der Bundesvorsitzende Stephan Kruij in München wieder einen Marathon gelaufen, diesmal in 4 Stunden 14 Minuten. Danke an alle Unterstützer und Wegbegleiter!

**21.–23.09.2017** In Waldthausen bei Mainz tauschen internationale Wissenschaftler auf Einladung des Mukoviszidose Instituts ihre Erfahrungen zum Thema Organoide aus (Bericht Seite 30), anschließend tagt der Bundesvorstand und konkretisiert seine Strategie bzgl. neuer Medikamente und der Zusammenarbeit mit der Pharmaindustrie (Bericht Seite 8)

**10., 14. und 17.09.2017** Ob in Reutlingen beim Bikers Day, in Bonn beim Firmenlauf oder in Steinhöring beim Wandertag mit Michaela May: Benefiz-Laufveranstaltungen verbinden Sport,

gute Laune und guten Zweck zu tollen Events – es lohnt sich immer, mitzuhelfen oder daran teilzunehmen (Berichte auf den Seiten 46 bis 48)

**04.09.2017** Die Redaktion trifft sich in der Bonner Geschäftsstelle und berät das Schwerpunkt-Thema dieses Heftes: Die Wirkung der neuen Medikamente. Bei diesem brisanten Thema halten wir folgende Hinweise für sinnvoll: Für Leserzuschriften gilt der allgemeine Grundsatz, dass sie nicht unbedingt die Meinung des Herausgebers oder der Redaktion darstellen. Der Verein möchte weder Patienten zur Einnahme eines Medikaments verleiten, noch andere entmutigen, die von einem Medikament profitieren. Unsere Aufgabe sehen wir vielmehr darin, die wesentlichen Fragen aus Patientensicht mit gesicherten Informationen zu Wirkungen, Nebenwirkungen und Studienergebnissen zu beantworten, damit die Patienten eine informierte Entscheidung über die Einnahme dieser Medikamente treffen können.

**31.07.2017** Wir trauern um den langjährigen Tübinger Ambulanzleiter Dr. Joachim Riethmüller, der plötzlich und unerwartet verstarb. Sein Freund Thomas Becher hat uns einen Nachruf geschrieben (Seite 32).

Viel Spaß beim Lesen dieser interessanten Ausgabe.

*S. Pfeiffer-Auler* *Stephan Kruij*

**Susi Pfeiffer-Auler**  
Redaktionsleitung muko.info

**Stephan Kruij**  
Bundesvorsitzender des  
Mukoviszidose e.V.



# Das finden Sie in diesem Heft

## Schwerpunkt-Thema

### CFTR-Modulatoren:

#### Wie wirken die neuen Therapien?

- 6 Neue Therapien bei Mukoviszidose
- 7 Erste Erfahrungen mit der neuen Lumacaftor/Ivacaftor-Therapie
- 8 Bundesvorstand zu Transparenz und Unabhängigkeit des Vereins
- 9 Erfahrungsberichte
- 16 Orkambi® – Eine kritische Bestandsaufnahme
- 21 Arzneimittelpreise bei seltenen Erkrankungen

## Vorschau

### Leserbriefaufrufe

- 22 muko.info 1/18  
Make Selbsthilfe great again!
- 22 muko.info 2/18  
HNO-Problematik bei Mukoviszidose

## Unser Verein

- 24 Förderpreis für muko.fit-transplant
- 24 Save the Date: Erwachsenentreffen 2018 in Bonn
- 25 50 Jahre Bundesarbeitsgemeinschaft SELBSTHILFE
- 26 Neue Internetseite www.muko.info online
- 28 Zweite CF-Erwachsenentagung in Hannover
- 29 Zweite Selbsthilfe-Tagung der AG Selbsthilfe in Würzburg

## Wissenschaft

- 30 Scientific Meeting des Mukoviszidose e.V.
- 32 Nachruf für Dr. Joachim Riethmüller
- 33 Physikalisch-chemische Grundlagen in Zahlen
- 34 Zertifizierung der Mukoviszidose-Einrichtungen
- 36 20. Deutsche Mukoviszidose Tagung in Würzburg

## Komplementärmedizin

- 39 Buchempfehlung: „Wunder wirken Wunder“

## Therapie

- 40 Ärztliche Erfahrungen mit Therapie-Adhärenz unter Kalydeco und Orkambi

## Sport und Fitness

- 42 Spendenprojekt aus Anlass eines Ultramarathons
- 42 Buchvorstellung: „Laufend Mukoviszidose, na und?! – UNKAPUTTBAR“
- 43 Weltspiele der Transplantierten

## Wir in der Region

- 44 Schlosserlebnistag – Eine besondere Spendenaktion
- 44 Großzügige Spende aus Sachsen-Anhalt
- 45 Erster Christiane Herzog Tag in Aachen

## Danke

- 46 Bonner Firmenlauf und Aktion „Deutschland wandert – Deutschland hilft“
- 47 Spendenaktion „laufen – zahlen – profitieren!“
- 48 Neunter DATAGROUP Bikers Day
- 48 Neuer Autoaufkleber

## Persönlich

- 50 Interview mit Evelyn Lill



MIX  
Papier aus verantwortungsvollen Quellen  
FSC® C021692



Id-Nr. 1768731  
www.bvdm-online.de



# Impressum

## **muko.info:**

Mitglieder-Information des Mukoviszidose e.V.,  
Bundesverband Cystische Fibrose (CF) – gemein-  
nütziger Verein. Nachdruck, auch auszugsweise,  
nur mit ausdrücklicher Genehmigung der Redaktion.  
Belegexemplare erbeten.

## **Herausgeber:**

Mukoviszidose e.V.  
Vorsitzender des Bundesvorstands:  
Stephan Kruip  
Geschäftsführende Bereichsleiterin:  
Dr. Katrin Cooper  
In den Dauen 6, 53117 Bonn  
Telefon: + 49 (0) 228 98780-0  
Telefax: + 49 (0) 228 98780-77  
E-Mail: info@muko.info  
Vereinsregister 6786, Amtsgericht Bonn  
Gemeinnütziger Verein  
Finanzamt Bonn-Innenstadt

## **Schriftleitung:**

Vorsitzender Stephan Kruip  
Medizinische Schriftleitung:  
Dr. Christina Smaczny (Erwachsenenmedizin),  
Dr. Andreas Jung (Kinderheilkunde)

## **Redaktion:**

Susi Pfeiffer-Auler (Leitung), Henning Bock,  
Ilona Ditges, Dr. Uta Düesberg, Lena Jung, Insa Krey,  
Stephan Kruip, Winfried Klümpen, Thomas Malenke,  
Miriam Stutzmann, Marc Taistra  
E-Mail: redaktion@muko.info

## **Herstellung und Vertrieb:**

Mukoviszidose e.V.  
In den Dauen 6, 53117 Bonn  
Satz: zwo B werbeagentur  
Ermekeilstraße 48, 53113 Bonn  
Druck: Köllen Druck+Verlag  
Ernst-Robert-Curtius-Straße 14  
53117 Bonn-Buschdorf  
Auflage: 10.000

## **Spendenkonto des Mukoviszidose e.V.:**

IBAN: DE59 3702 0500 0007 0888 00  
BIC: BFSWDE33XXX  
Bank für Sozialwirtschaft Köln GmbH  
www.muko.info

Über unverlangt eingesandte Manuskripte und Fotos  
freuen wir uns sehr, wir übernehmen jedoch keine  
Haftung.

**Hinweis:** Die Redaktion behält sich vor, einge-  
sandte Beiträge nach eigenem Ermessen zu kürzen.  
Gewerbliche Anzeigen müssen nicht bedeuten, dass  
die darin beworbenen Produkte von der Redaktion  
empfohlen werden. Die Begriffe Mukoviszidose und  
Cystische Fibrose (CF) sind Bezeichnungen ein und  
derselben Erkrankung.

**Bildnachweis:** Alle Bilder, außer den gesondert  
gekennzeichneten, sind privat sowie von Fotolia,  
iStock und thinkstock.

# Neue Therapien bei Mukoviszidose

## Ein Überblick

Im Juli 2012 wurde erstmalig eine wirksame, mutationsspezifische Therapie der Mukoviszidose zugelassen. Mit diesem Meilenstein öffneten sich für Mukoviszidose-Betroffene, ihre Familien und behandelnde Ärzte völlig neue Horizonte. Erstmals wurde die lang ersehnte ursächliche Therapie dieser Erkrankung Realität.

### Potentioren und Korrektoren

Der erste zugelassene CFTR-Potentiator, Ivacaftor (Kalydeco) interagiert mit dem defekten CFTR-Chloridkanal und erhöht seine Öffnungswahrscheinlichkeit. In klinischen Studien konnte bei Patienten mit mindestens einer G551D Mutation eine signifikante Verbesserung der FEV<sub>1</sub> um 10,6%, des Gewichts um 2,6 kg, ein Rückgang der pulmonalen Exazerbationen um 55% und eine daraus resultierende bessere Lebensqualität nachgewiesen werden. Mittlerweile ist die Zulassung auf die folgenden Gatingmutationen erweitert (ab 2 Jahren): G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N und S549R; darüber hinaus können erwachsene Patienten mit einer R117H-Mutation behandelt werden. Insgesamt können mit Ivacaftor ca. 3% der Patienten in Deutschland behandelt werden.

### Kombinationspräparat

Das seit 11/2015 für Homozygotie F508del zugelassene Kombinationspräparat Orkambi enthält neben Ivacaftor zusätzlich den CFTR-Korrektor Lumacaftor, der zu einer Stabilisierung des CFTR-Kanals führt. Dieses Medikament zeigt eine deutlich geringere Wirksamkeit, mit einem mittleren Anstieg der Lungenfunktion um 2,8%, einer Zunahme des Körpergewichts und einer Abnahme

der Exazerbationshäufigkeit um 39%. In Einzelfällen verbessert sich die Lungenfunktion erheblich. Bei manchen Patienten kommt es zu keiner Verbesserung der Lungenfunktion, dafür werden Krankheitssymptome allgemein abgemildert. Vereinzelt kann es auch zu einer pulmonalen Verschlechterung kommen, so dass das Medikament abgesetzt werden muss.

### Nebenwirkungen und Wechselwirkungen genau beobachten

CFTR-Modulatoren beeinflussen enzymatische Systeme der Leber. Wichtig sind daher regelmäßige Kontrollen der Leberwerte. Lumacaftor hat zahlreiche Wechselwirkungen mit anderen Medikamenten und kann z.B. die Wirkung hormoneller Antikontrazeptiva herabsetzen. Augenärztliche Kontrollen werden empfohlen, da unter Ivacaftor eine Linsentrübung beobachtet wurde. Tezacaftor, eine neue Entwicklung, wird voraussichtlich weniger Interaktionen mit anderen Medikamenten auslösen.

Unter Orkambi kann zu Beginn der Therapie vorübergehend als Nebenwirkung ein starkes Engegefühl im Brustbereich auftreten. Auch die Sekretmenge kann deutlich ansteigen. Bei Patienten mit sehr stark eingeschränkter Lungenfunktion, die nur geringe pulmonale Reserven haben, ist allgemein Vorsicht geboten. Eine verringerte Dosis wird in vielen Fällen jedoch gut toleriert und kann den Krankheitsverlauf stabilisieren.

Die Erfahrungen mit neuen Medikamenten wachsen stetig, Langzeiteffekte sind jedoch noch nicht abschätzbar.



Dr. Justina Winiarska-Kiefer

Die mutationsspezifische Therapie soll ergänzend zur symptomatischen Therapie eingesetzt werden.

Angesichts unterschiedlicher Wirksamkeit und sehr hoher Therapiekosten wird nach Methoden gesucht, Effekte der CFTR-Modulatoren bei einzelnen Patienten schon im Vorfeld beurteilen zu können.

### Was kommt noch?

Derzeit laufen mehrere Studien mit CF-Modulatoren, next Generation Wirkstoffe sind bereits entwickelt und in (bis zu dreifach) Kombinationen bei verschiedenen Mutationen getestet. Diese Fortschritte lassen uns optimistisch in die Zukunft schauen und auf eine spürbare Verbesserung der Lebensqualität und Verlängerung der Lebenszeit von CF-Betroffenen hoffen.

Dr. Justina Winiarska-Kiefer,  
Klinikum Stuttgart



# Erste Erfahrungen mit der neuen Lumacaftor/Ivacaftor-Therapie bei Patienten mit der F508del/F508del Mutation

Seit November 2015 ist die Therapie mit dem CFTR-Modulator (CFTR= cystic fibrosis transmembrane conductance regulator) in Deutschland zugelassen. Die Zulassung erfolgte für Patienten, die die Mutationen F508del/F508del (Homozygotie für die F508del Mutation) besitzen und mindestens zwölf Jahre alt sind. Für diese Mutations-Gruppe (Klasse II Mutation) liegt mit der Lumacaftor/Ivacaftor-Therapie erstmals eine ursächliche Beeinflussung der Mukoviszidose vor.

## Wie erfolgte die Initiierung der neuen Therapie mit Lumacaftor/Ivacaftor?

Mit Beginn der Zulassung für Lumacaftor/Ivacaftor in Deutschland haben wir im Christiane Herzog CF-Zentrum an der Charité angefangen, die Patienten systematisch über die neue Therapie zu informieren. Aus den Zulassungsstudien waren Wirksamkeit und Verträglichkeit bekannt und dementsprechend an Patienten und deren Angehörige kommuniziert worden. Aufgrund der fehlenden Untersuchung von Schweißtesten in den Zulassungsstudien erfolgte neben den verpflichtenden Blutabnahmen vor und während der Therapie die Chloridsekretion mittels Schweißtest.

Allen Patienten wurde nach ausgiebiger Aufklärung eine Broschüre zur Einnahme der neuen Medikamente ausgehändigt. Zusätzlich zeigten Erfahrungen aus den Studien und Expertengesprächen, dass ein Einschleichen der Therapie sinnvoll sein könnte. Aus diesem Grund wurde die Dosis bei fast allen Patienten von einer Tablette auf die notwendigen vier Tabletten pro Tag langsam gesteigert.

## Welche Patienten haben in unserem Zentrum mit der neuen Therapie mit Lumacaftor/Ivacaftor begonnen?

Aufgrund von einzelnen zu erwartenden Nebenwirkungen im Bronchialsystem wurde zunächst Patienten mit mittlerer Lungenfunktionseinschränkung Lumacaftor/Ivacaftor verordnet. Die ersten Patienten hatten beim Start der Therapie eine Lungenfunktion von einer FEV<sub>1</sub> zwischen 40 und 60% vom Sollwert. Die Therapie wurde – wie bereits oben beschrieben – eingeschlichen mit einer Tablette pro Tag. Bei guter Verträglichkeit erfolgte eine Steigerung um eine Tablette. Der behandelnde Arzt stand in engem telefonischen Kontakt zum Patienten, um frühzeitig über Unverträglichkeiten informiert zu werden. Spätestens nach einem Monat erfolgte dann die erste klinische Kontrolle in der Ambulanz mit Blutabnahme, Lungenfunktion und Schweißtest.

Im weiteren Verlauf wurden Patienten mit besserer und schlechterer Lungenfunktion, also einer FEV<sub>1</sub> von über und unter 40–60% vom Soll, mit Lumacaftor/Ivacaftor therapiert sowie Patienten unter 18 Jahre.

## Wie war die Verträglichkeit der Therapie mit Lumacaftor/Ivacaftor?

Die Verträglichkeit war insgesamt gut – vor allem mit dem Procedere der langsamen Therapieeinschleichung. Es gab aber auch Patienten, die trotz recht guter Lungenfunktion (FEV<sub>1</sub> >50% vom Soll) die Therapie nicht vertragen haben, aber dies waren eher Einzelfälle. Umgekehrt gab es Patienten, die eine deutlich schlechtere Lungenfunktion als

eine FEV<sub>1</sub> von 40% vom Soll hatten und die Therapie mit Lumacaftor/Ivacaftor gut toleriert haben. Nachdem auch mehr jüngere Patienten (<18 Jahre) die Therapie erhalten hatten, bestand aus unserer Sicht der Eindruck einer besseren Verträglichkeit von Lumacaftor/Ivacaftor bei dieser Patientengruppe. An dieser Stelle möchte ich aber darauf hinweisen, dass dies ein subjektiver Eindruck an einer insgesamt kleinen Patientengruppe ist und nicht die statistische Auswertung einer Patientengruppe im Vergleich zu einer anderen.

## Wie war die Wirksamkeit der Therapie mit Lumacaftor/Ivacaftor?

Auch im Hinblick auf die Wirksamkeit der Therapie wird ein subjektiver Therapieerfolg oder -misserfolg beschrieben und nicht die statistische Auswertung einer Studie. Die Frage nach dem Therapieerfolg kann man nicht so einfach beantworten, da viele Faktoren den klinischen Verlauf der Mukoviszidose beeinflussen. Zum Beispiel ist nicht klar, ab wann ein Therapieerfolg frühestens oder spätestens bewertet werden kann oder muss. Aus diesem Grund möchte ich mich hier auf die Spannweite der unterschiedlichen, individuellen Verläufe unter der Therapie mit Lumacaftor/Ivacaftor beschränken.

Nach weit über zwölf Monaten Therapie sind nun aber Aussagen zu unterschiedlichen Parametern möglich. Die interessantesten darunter sind die Reduktion der Infektexazerbationen. Patienten, die vorher mindestens zwei bis drei Exazerbationen pro Jahr hatten, haben

nicht eine einzige unter der Therapie mit Lumacaftor/Ivacaftor innerhalb von einem Jahr gehabt oder deutlich weniger. Zusätzlich beschreiben viele Patienten, dass unter der Therapie die Müdigkeit (auch Fatigue-Syndrom genannt) deutlich weniger geworden oder sogar komplett weggefallen ist. Bezogen auf die Lungenfunktion gab es gleichbleibende Werte, deutliche Verbesserungen, aber auch Verschlechterungen zu sehen.

Am erstaunlichsten waren die Auswirkungen zum Teil auf die Blutzuckerwerte von Patienten mit CF-bezogenem Diabetes (CFRD). Die Blutzucker waren in Einzelfällen in den Normbereich zurückgegangen.

Eine Fortführung der Insulintherapie war dementsprechend nicht mehr notwendig, bei einzelnen anderen Patienten war deutlich weniger Insulin notwendig. Weitere Effekte waren flüssigeres Sputum (was nicht alle Patienten begeisterte) und ein verbesserter Geruchssinn (was alle Patienten begeisterte).

Insgesamt besteht ein positiver klinischer Effekt durch die erste kausale Therapie mit einem CFTR-Modulator bei Patienten mit Homozygotie für die F508del Mutation. Dass Lumacaftor/Ivacaftor nur der Anfang einer neuen Ära der CF-Therapie ist, sieht man bereits an den neuen Studienergebnissen weiterer

zur Verfügung stehender Medikamente, die hoffentlich bald den Weg zur Zulassung finden.

Dr. Carsten Schwarz  
Leitung Sektion Mukoviszidose  
Christiane Herzog-Zentrum  
Erwachsenen-Mukoviszidose,  
Endoskopie und Lungentransplantation  
Charité - Universitätsmedizin Berlin  
Klinik für Pädiatrie m. S. Pneumologie  
und Immunologie  
Campus Rudolf Virchow Klinikum

## Pharmafirmen sind unsere Partner Bundesvorstand zu Transparenz und Unabhängigkeit des Vereins

Für den Mukoviszidose e.V. war es schon immer wichtig, die Zusammenarbeit mit den Pharmafirmen transparent zu gestalten. Wir verstehen Pharmafirmen als wichtige und geschätzte Partner für den Verein und die von Mukoviszidose Betroffenen.

Auch wenn es gemeinsame Interessen und Ziele gibt, werden diese dennoch auf unterschiedlichen Wegen und in verschiedenen Rollen verfolgt. Vor allem beim öffentlichen Auftreten gibt es notwendige Abgrenzungen in der gemeinsamen Arbeit. Das ist aber aus Sicht des Mukoviszidose e.V. kein Nachteil in der Zusammenarbeit, sondern die Chance für beide Partner, ein kritisch-offenes Verhältnis zu pflegen und gleichzeitig die notwendige Unabhängigkeit und Transparenz bei der Verfolgung der gemeinsamen Ziele zu wahren. Nur so ist

der Mukoviszidose e.V. in der Lage, seine Aufgaben weiter unabhängig von Pharma-Interessen zu erfüllen.

### Leitsätze für Zusammenarbeit

Aus diesem Grunde hat der Mukoviszidose e.V. sich bereits vor vielen Jahren den Leitsätzen der Bundesarbeitsgemeinschaft der Selbsthilfe (BAG-S) für die Zusammenarbeit zwischen Bundesverbänden von gesundheitsbezogenen Selbsthilfeorganisationen und Wirtschaftsunternehmen angeschlossen. Alle Funktionsträger in der Vereinsarbeit unterschreiben deshalb die entsprechende „Erklärung zur Wahrung von Neutralität und Unabhängigkeit in der Arbeit des Mukoviszidose e.V.“.

In Bezug auf neue Medikamente sieht der Mukoviszidose e.V. seine Aufgabe darin, die wesentlichen Fragen aus Patienten-

sicht mit gesicherten Informationen zu Wirkungen, Nebenwirkungen und Studienergebnissen zu beantworten, damit die Patienten eine informierte Entscheidung über die Einnahme dieser Medikamente treffen können.

Für den Bundesvorstand  
Stephan Kruij, Bundesvorsitzender

### Zum Weiterlesen:

[www.bag-selbsthilfe.de/  
neutralitaet-und-  
unabhaengigkeit-der-  
selbsthilfe.html](http://www.bag-selbsthilfe.de/neutralitaet-und-unabhaengigkeit-der-selbsthilfe.html)



# Meine Erfahrung mit Orkambi

## Keine messbare, aber spürbare Verbesserung

Elisabeth Bauer (CF, 27) hat erst durch das Absetzen von Orkambi gespürt, wie gut es ihr eigentlich tat und möchte nun nicht mehr darauf verzichten.

Würde mich heute jemand fragen, ob ich die Teilnahme an der Studie zur Wirksamkeit von Orkambi bereue, wäre die Antwort einfach: Nein!

### Subjektiv zufriedener

Ich hatte keine Ahnung, was auf mich zukommen würde. Ich habe vorher noch nie an einer klinischen Studie teilgenommen. Aber es klang alles so vielversprechend, dass ich mir die Chance, ein so wirksames Medikament nehmen und gleichzeitig die Forschung unterstützen zu können, nicht entgehen lassen wollte. Daher nahm ich an Phase II und III zur Zulassung von Orkambi teil (insgesamt 2,5 – 3 Jahre).

Über den gesamten Zeitraum war zwar keine messbare Verbesserung festzustellen, jedoch auch keine Verschlechterung! Gleichzeitig fühlte ich mich besser, ge-

sünder und zufriedener. Ich überstand die Winter ohne Erkältung. Als die Studie vorbei war, entschied ich mich, Orkambi weiter zu nehmen.

### Ohne Orkambi mehr Husten

Dann kam die Frage, ob ich an einer weiterführenden Studie von Vertex teilnehmen möchte, wofür ich Orkambi vier Wochen vor dem Screening absetzen sollte. Die erste Woche ging es noch gut, aber die zweite war schrecklich. Ich merkte, was Orkambi eigentlich für mich tat/tut! Ich musste wieder sehr viel husten (was ich gar nicht mehr kannte!); das Laufen zur U-Bahn fiel mir schwer, die drei Stockwerke zur Wohnung waren anstrengend und beschwerlich.

### Entscheidung gegen Vertex-Studie

So entschied ich, nicht an der Studie teilzunehmen und Orkambi weiter zu nehmen, weil ich erkannte, wie gut es mir tut! Das Risiko, in die Placebo-Gruppe zu kommen und dann ein halbes Jahr kein Orkambi/neues Medikament zu bekommen, war mir zu groß.



Elisabeth Bauer

Ich will aber eine weitere Chance im Herbst nutzen, und an der neuen Vertex-Studie (Dreifach-Kombination) teilnehmen, bei der schon die Placebo-Gruppe Orkambi bekommt. Und das alles mit der Hoffnung, ein glückliches und gutes langes Leben führen zu können.

Elisabeth Bauer

**BA. BergApotheke**

Innovation | Service | Vertrauen

Rundum **gut versorgt...**

...von der Ernährungsberatung bis zur i.v. Therapie zu Hause!

Telefon: **05451 5070 - 963**  
www.berg-apotheke.de

Partner der  
**BA. Unternehmensgruppe**  
Gesundheitswesen | Team | Erfolg



# Freude und Fragen

## Kritischer Blick notwendig

Thomas Malenke (51, CF) sagt: Die Entwicklung neuer CFTR-Modulatoren freut mich und wirft zugleich viele Fragen auf. Natürlich bin ich als Patient, der seit über 50 Jahren mit der Erkrankung lebt, über jeden Fortschritt, jede neue Therapie froh. Nur durch solche Innovationen gelang es in der Vergangenheit, die Lebensqualität und Lebenserwartung von uns Betroffenen weiter zu verbessern und zu erhöhen. Ein Rückblick zeigt aber auch, dass man im Vorfeld nie wissen kann, welche gerade erprobte neue Therapie auch langfristig etwas bringt.

### Zwei unterschiedliche Beispiele

In den 60er Jahren galt das **Nebelzelt** als CF-Innovation, als medizinischer Fortschritt. Jahre später hat es sich als

Irrweg erwiesen. In den 80er Jahren galt die **Autogene Drainage** als wesentlicher medizinischer Fortschritt. Sie hat sich bis heute durchgesetzt und maßgeblich dazu beigetragen, dass wir Betroffene uns nun selbstständig physiotherapieren können (ohne Hilfe von außen wie bei der damals vorherrschenden Klopftherapie).

### Chancen und Risiken

Bei vielen Innovationen, d.h. neuen Medikamenten oder Therapien, ist es rückblickend so, dass sich nach und nach herausstellte, dass es **langfristig** drei Gruppen von Betroffenen gibt:

- » Ein Teil profitiert.
- » Ein zweiter Teil merkt keine Verbesserung, hat aber mit den Nebenwirkun-

gen zu kämpfen und behandelt diese wiederum.

- » Bei einem dritten Teil wird die Lungenfunktion sogar – nach einer positiven Placebo-Phase – schlechter.

Umso wichtiger erscheint mir auch bei den neuen Medikamenten Kalydeco, Orkambi und Co die Selbstbeobachtung des Patienten. Was bringt mir persönlich das neue Medikament? Welche Nebenwirkungen habe ich? Ein kritischer Blick in den (eigenen) Spiegel bei aller Freude über den Fortschritt wäre allen zu wünschen. Es wäre gut, die eigenen Beobachtungen mit dem Ambulanzarzt zu besprechen.

Thomas Malenke

# Gefühlt gesund!

## Chance auf ein besseres Leben

Stefan Weiprecht ist 36 Jahre alt und CF-Patient. Er schreibt über eine Dreifachtherapie, die er im Rahmen einer Studie erhielt.

Im ersten Monat wurde Orkambi durch Tezacaftor/Ivacaftor ersetzt. Im zweiten Monat wurde noch VX 440 hinzugegeben und im dritten Monat wurde VX440 wieder ausgeschwemmt. Der Wechsel von Orkambi auf Tezacaftor/Ivacaftor war für mich schon ein Gewinn, aber als VX 440 noch dazu kam, fühlte ich mich zum ersten Mal richtig gesund. Ich kann es gar nicht so richtig beschreiben, ich weiß ja nicht, wie gesund sein eigentlich ist. Mit der Einnahme des Medikaments am

ersten Tag, noch im CF-Studienzentrum der Universitätsklinik Köln, konnte ich 140 ml Sputum mobilisieren. Am zweiten Tag brachte ich 80ml und am dritten Tag noch 20 ml raus. Doch danach konnte ich es nicht mehr messen.

### Keinerlei Einschränkungen

Ich hatte keine plötzlichen Hustenanfälle, kein unangenehmes Engegefühl im Brustkorb. Ich konnte Treppen steigen, ohne drüber nachzudenken „Oh Gott, wie viele Stufen denn noch?“. Ich konnte lange ausschlafen, hatte nie das Gefühl CF-krank zu sein, es ist, als ob mir ein besseres Leben geschenkt wurde. Man muss bedenken: Ich hatte täglich zwi-

schen 30 ml bis 60ml Sputum. Wenn ich das nicht schaffte, rächte sich das am nächsten Tag. Doch jetzt plötzlich war gar nichts mehr davon da. Der Gewinn an Lebensqualität und plötzlich zusätzlicher Freizeit war enorm. Ich bin der Meinung, dass dieses Medikament so vielen, die nicht von Orkambi profitieren konnten oder mit dessen Nebenwirkungen nicht zurechtkamen, eine gute Chance auf ein besseres Leben bietet. In der ganzen Zeit betreute mich ein tolles Team, vielen lieben Dank an das CF-Studienzentrum Köln, das mir das alles ermöglicht hat.

Stefan Weiprecht

# Nach Studienteilnahme überzeugt Pubertät gut überstanden

Kurz nachdem Orkambi die Zulassung für betroffene CF-ler mit der Mutation Delta F508 bekommen hatte, erhielt Familie Perslow von der Medizinischen Hochschule Hannover (MHH) die Anfrage, ob der 14-jährige Sohn Bo sich für eine „Nachstudie“ bezüglich Orkambi zur Verfügung stellen wolle. Man wollte herausfinden, ob das Präparat beweisbar in den Schleimhäuten (Nasen- und Rektalschleimhaut) wirksam sei. Gut, dass wir das gemacht haben, sagen die Perslows heute.

## Pötzlich unsicher

Mehrere unangenehme Biopsien von Nasen- und Rektalschleimhaut waren neben den gewohnten Blutuntersuchungen, Lungenfunktionstests, Rachenabstrichen etc. vonnöten. Als dann die erste Packung Orkambi vor uns stand, waren wir plötzlich unsicher, ob wir es „wagen“ sollten, ihm die Tabletten zu geben.

## Wirkungen traten ein

Hoffnungen, Angst vor Enttäuschungen und Nebenwirkungen gingen uns durch den Kopf. Bo nahm jedoch das Herz in die Hand und startete mit Orkambi. 14 Tage später hatten wir einen Check up in der MHH. Bos Lungenfunktion (FEV<sub>1</sub>) war um drei Prozent verbessert und er hatte drei Kilogramm zugenommen. Zufall? Pubertät?

Im Blut war zunächst die CK (Creatin-Kinase) erhöht, der Wert sank (unter Orkambi) jedoch wieder und Bo durfte „weitermachen“. Drei Monate später wurden erneut Biopsien an Nase und Rektalschleimhaut entnommen. Eine signifikante Wirkung von Orkambi an den Schleimhäuten konnte nicht nachvollzogen werden.

**Aber: Die versprochenen Wirkungen der Packungsbeilage trafen zu 100 % zu.**

Unser Sohn hatte sich unter Orkambi prächtig entwickelt. Wir entschieden uns, dass Bo Orkambi über die Studie hinweg weiter nehmen sollte. So folgte ein weiteres Jahr mit stetiger Gewichtszunahme, gutem Glukosetoleranztest, nur leichten Infekten ohne Antibiotikaeinsatz. Im Juni 2017 hatte Bo eine FEV<sub>1</sub> von 94 % (vor Orkambi 89%) und inzwischen liegt der Wert bei 98%!

## Berechtigte Hoffnung?!

In den vergangenen 16 Monaten unter Orkambi hat Bo über 20kg zugenommen und sich körperlich toll entwickelt. Natürlich wissen wir nicht, was Orkambi mittel- bis langfristig für Nebenwirkungen hat, aber die schwierige Phase der Pubertät konnten wir damit bisher maximal gut überbrücken und haben berechtigte Hoffnung, dass Orkambi erst der Anfang ist.

Familie Perslow



Bo (Mitte) mit seinen Geschwistern Emil und Smilla im Sommer 2017 bei der Reha auf Amrum



# Patienten-Erfahrungen von enttäuscht bis begeistert

## CFTR-Modulator mit Licht und Schatten

Bei der klinischen Anwendung des CFTR-Modulators Orkambi wird von Ärzten und Patienten eine individuell sehr unterschiedliche Wirkung berichtet. Wir lassen hier Patienten zu Wort kommen, die ihre Erfahrungen zuvor auch in den sozialen Medien geschildert hatten – aber diese Zusammenstellung erhebt natürlich keinen Anspruch darauf, repräsentativ zu sein:



„Unsere Tochter (15) nimmt jetzt seit einem Jahr Orkambi, sie hat vier kg zugenommen, die Lufu ist deutlich besser und stabil. Deutlich weniger Husten, vor allem auch morgens, der Schleim ist fühlbar flüssiger, obwohl sie kaum mehr orale Antibiotika nimmt. Wir sind so froh und dankbar, dass es Orkambi in Deutschland gibt.“ (Daniela\*)



„In den fünf Monaten, die ich Orkambi nahm, hat sich nichts verändert: keine Nebenwirkungen, aber auch keinerlei Wirkung: Zahl der Klinikaufenthalte, Infekte, Lungenfunktion, Verdauung, Sättigung, Gewicht, pulmonale Verfassung blieb alles unverändert. Wir haben uns entschieden, auf Orkambi zu verzichten.“ (Steffen)



„Ich (22) nehme jetzt Orkambi seit zehn Monaten und es hat mir echt das Leben gerettet: Mein FEV<sub>1</sub> ist auf 35 % gestiegen, ich war dieses Jahr noch nicht im Krankenhaus wegen der CF, ich brauche keine 24 Stunden Sauerstoff mehr, ich kann auch wieder alles selber machen wie Einkaufen etc. Leider muss ich aber nach wie vor mindestens dreimal am Tag inhalieren, da ich so eng bin, aber das finde ich nicht so schlimm.“ (Verena)



„Unter Orkambi hat sich am Anfang der intravenösen Antibiotikagabe (IV) alles verflüssigt, meine Lunge fühlte sich wie unter Wasser gesetzt. Jetzt nehme ich Orkambi nur morgens (2 Tbl.), um die Phasen der unproduktiven Verflüssigung nachts zu verhindern. Meine Sauerstoff-Sättigung ist im Trend zwei

Prozent schlechter. Ich fände es sehr schön, wenn es ein Forschungsprojekt gäbe, das versucht, die Auswirkungen von Orkambi zu erfassen und zu beschreiben. Damit könnte das Potential von Orkambi individuell besser genutzt werden.“ (Claudia\*)



„Ich habe vor vier Monaten mit Orkambi begonnen. Nach anfänglichem Wechsel zwischen Verstopfung und Durchfall hat sich die Verdauung durch die Halbierung der Enzym-Dosis inzwischen reguliert. Die Lungenfunktion hat sich um 0,2l verbessert, der Entzündungsparameter CRP ist gesunken, und ich finde, nach Anstrengung erholt sich die Atmung schneller wieder.“ (Maria\*)



„Ich habe Orkambi von Januar bis September genommen. Zu Beginn war der FEV<sub>1</sub> bei 58%, hatte unter Orkambi dann wahnsinnig viel Schleim, becherweise kam das Zeug raus, und einen Infekt nach dem anderen. Der FEV<sub>1</sub> ist unter den Infekten immer wieder abgefallen, zuletzt sogar auf 28% bei krasser Atemnot und schlechter Sättigung. Nach Absetzen von Orkambi, IV-Therapie und viel Inhalation habe ich nun einen FEV<sub>1</sub> von 69,9%.“ (Leonie)



„Nach drei Monaten Orkambi ist die Lufu bei meiner Tochter von 72 % auf 97 % gestiegen. Sie hat zwar immer mit einem eher trockenen Husten zu tun, aber der ist aus meiner Sicht erträglich. Sie nimmt bis auf ihr Kreon, Insulin und Vitamine nichts anderes mehr.“ (Rita)

\* Name durch die Redaktion geändert



Viele Patienten berichten von typischen Schwierigkeiten in den ersten Tagen nach Therapiebeginn – in amerikanischen Gruppen wird dafür der Begriff „Purge“ genutzt (engl. für Spülung, Säuberung). Eine Patientin mit FEV<sub>1</sub> von 35 % berichtet von ihrem extremen Purge: „Ich nehme jetzt eine Woche die halbe Dosis und bisher geht es mir damit nur schlecht: Schwere Atemnot und Enge, hoher Blutdruck, Nasenbluten und mehr Fettstühle in Kombination mit Verstopfung und Bauchschmerzen als je zuvor. Das schlimmste sind die verkrampften Muskeln an den Beinen und im Bauch/Thorax-Bereich. Ich schaffe es nur mit enormem Kraftaufwand einzuatmen und bin überhaupt nicht mehr in der Lage, etwas alleine zu machen. Jede Kleinigkeiten strengt mich so an, dass ich das Gefühl habe, gleich umzukippen. Alle 15 Minuten brauch ich mein Asthmaspray. Schon essen ist so anstrengend, dass ich danach schlafen muss. Und wenn ich husten muss, platzt mir fast der Kopf von dem Druck, raus kommt aber gar nichts. Nur die Nase fängt dann an zu bluten.“ (Britta)

Wenn der FEV<sub>1</sub> in der Anfangsphase abfällt, ist es für die Patienten eine schwierige Frage, wie lange sie unter Fortsetzung der Therapie auf eine Stabilisierung des FEV<sub>1</sub> warten sollen. Die Patienten berichten auf Facebook auch von vielfältigen Nebenwirkungen – vom starken Stechen und Druck in der Lebergegend, Herzrasen (auch Tachykardie und Extrasystolen), hohem Blutdruck, Übelkeit, Bauchschmerzen über Sodbrennen, Durchfälle, gestiegene Schmerzempfindlichkeit bis zur unregelmäßigen Regelblutung, Haarausfall und Depression. Die vorherrschende Nebenwirkung ist ein Engegefühl in den Bronchien. Wichtig ist in jedem Fall, dass Nebenwirkungen vom Arzt oder Patienten beim Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM, [www.bfarm.de](http://www.bfarm.de)) gemeldet werden.

Die Redaktion

Abbildungen können abweichen, Preisänderungen/Druckfehler vorbehalten, Foto Schiff: Fotolia

**Alle Therapiegeräte dieser Anzeige sind verordnungsfähig. Schicken Sie uns Ihr Rezept, wir erledigen alles Weitere - deutschlandweit !**

## Sauerstoffversorgung

– Stationär, mobil oder flüssig

Verschiedene tragbare Sauerstoffkonzentratoren z.B.:

- **SimplyGo** mit Dauerflow von 2 l/min
- **SimplyGo mini** nur 2,3 kg
- **Inogen One G3 HF** ab 2,2 kg
- **Inogen One G4, 4Cell** nur 1,27 kg
- **Eclipse** mit Dauerflow von 3 l/min

**Inogen One G4, 4Cell**  
nur 1,27 kg  
Shop-Preis 2.798,00 € \*

Mieten  
ab 1 Woche  
möglich!



## Sekretolyse

### VibraVest

Methode HFCWO (High Frequency Chest Wall Oscillation) **ohne** Kompression des Brustkorbes. Für Kinder und Erwachsene, in 6 Größen verfügbar.



### Hustenassistent:

mit Vibrationsmodus, für Kinder und Erwachsene

- **Pulsar Cough 700** neues Modell
- **Cough Assist €70** von Philips Respironics



## Inhalation

### OxyHaler Membran-Vernebler

Klein - leicht (88 g) - geräuschlos - mit Akku. Verneblung von NaCl, z.B. Nebusal 7%, bis Antibiotika möglich

Ideal  
für unterwegs  
Shop-Preis  
198,50 € \*



## Atemtherapiegeräte

### Alpha 300 zur IPPB-Therapie

Intermittent Positive Pressure Breathing  
- Unterstützend mit gesteuerter Inhalation, PSI = Pressure Support Inhalation  
- Erhöhte Medikamentendeposition

IPPB Atemtherapie  
mit Inhalation: PSI



### m-neb pressure+ Membranvernebler

- Maximaler Wirkungsgrad durch ideale Tröpfchengröße durch Mesh-Verneblung  
- Durch Atemzugsteuerung Medikamenteneinsparung und Verringerung der systemischen Nebenwirkungen z.B. bei ICS (Inhalative Kortikosteroide)

auch atemzuggesteuert,  
invasiv,  
non-invasiv, HomeCare



### GeloMuc/Quake

### PowerBreathe Medic

### RespiPro/RC-Cornet

### PersonalBest - Peak Flow Meter

Shop-Preis  
GeloMuc:  
55,00 € \*



## LIMBO Dusch- und Badeschutz

- In verschiedenen Modellen und Größen
- Wiederverwendbar, langlebig
- Durch den Neoprenverschluss **Endlich wieder unbeschwert duschen!**  
dehnbar und handlich **ab 13,50 € \***

Anwendung: Verbände, Gips, Wunden, Kanülen/PICC etc.



\* Aktionspreis  
solange Vorrat reicht

Finger-Pulsoxymeter OXY310  
Aktionspreis 35,00 € \*



# Kaum Infekte

## Stabilisierung der Gesundheit

Weitere  
Therapieerfahrungen  
gibt es auf unserem Blog  
zu lesen:

[http://blog.muko.info/  
leserbriefe-4-17](http://blog.muko.info/leserbriefe-4-17)

Eine 23-jährige CF-Patientin schreibt:  
Ich nehme Orkambi nun seit mehr als  
anderthalb Jahren ein und bin, um es  
vorwegzunehmen, restlos begeistert.

Zunächst musste ich im ersten Jahr der  
Einnahme für mehrere Tests öfter als  
normal in die CF-Ambulanz. Die Ergeb-  
nisse zeigten, dass Orkambi bei mir eine  
positive Wirkung hat. Meine Lungenfunk-  
tion ist leicht angestiegen und, was mich  
am meisten wunderte, der Chlorid-Ionen-  
Wert bei Durchführung des Schweißtests  
ist um fast 10 % gesunken.

Die Verbesserung der Lungenfunktion  
könnte noch mit meiner gestiegenen  
sportlichen Aktivität in diesem Jahr er-  
klärt werden, aber die Verbesserung des  
Chlorid-Ionen-Werts ist durch bewusste  
Handlungen meinerseits nicht zu erklä-  
ren. Auch nahm ich, im Gegensatz zu

vorher, an Gewicht und Muskelmasse zu.  
Meine Kreon-Gabe veränderte sich durch  
Orkambi nicht.

### **Einfluss auf Hormone?**

Meine Periode wurde trotz hormonel-  
ler Verhütung unregelmäßig und ich  
wechselte zu einer nicht hormonellen  
Verhütung, was dieses Problem behob.

Seit Orkambi hatte ich nur zwei kleine,  
kurze Infekte und fühle mich insgesamt  
stärker und belastbarer. Trotz dessen,  
dass es bei einigen leider nicht funk-  
tioniert hat, würde ich jedem, dem es von  
seiner Ambulanz empfohlen wird, raten,  
dieses Medikament (o. ein ähnliches) zu  
versuchen.

Es hat keine Heilung erbracht, was ich  
auch nicht geglaubt habe, aber selbst  
diese leichte Verbesserung meiner Werte



und die Stabilisierung meiner Gesund-  
heit haben mir geholfen, viel positiver,  
zuversichtlicher und lebensfroher in die  
Zukunft zu sehen. Ich hoffe außerdem,  
dass das Medikament bald so weiterent-  
wickelt wird, dass jeder Muko-Patient  
davon profitieren kann.

Name und Adresse der Autorin sind der  
Redaktion bekannt

## Bewusstes „Nein“ zu Orkambi

### Unkalkulierbare Risiken

Hier schreibt uns ein Mukoviszidose-Pa-  
tient, der sich nach reiflicher Überlegung  
gegen die Einnahme von Orkambi ent-  
schieden hat.

Erstmalig hörte ich vor etlichen Jahren von  
diesem neuen Medikament über meine  
CF-Ambulanz. In dieser Anfangszeit wurde  
doch einiges spekuliert und Hoffnungen  
in dieses Mittel gesetzt. In der Ambulanz  
erzählte man, dass noch Studien laufen  
würden. Die anfängliche euphorische  
Stimmung kühlte sich langsam aber stetig  
herunter. Bis zu dem Tag, als man mir mit-

teilte, es wäre jetzt zwar auf dem Markt,  
aber es könnten doch schwerwiegende  
Nebenwirkungen auftreten. Da ich neuen  
Medikamenten immer etwas skeptisch  
gegenüber stehe, informierte ich mich  
auch hier erst einmal ausgiebig. Hierzu  
recherchierte ich Studien, informierte mich  
im Internet und las Pressemitteilungen.

### **Inhaltsstoffe machen skeptisch**

Ich hinterfragte die nur geringe Verbesse-  
rung des FEV<sub>1</sub> und die hohen sowie un-  
durchsichtigen Kosten für die Forschung/  
Entwicklung und der Herstellung des

Medikaments. Für mich ist das alles sehr  
fragwürdig. Wenn ich in den Beipackzettel  
schaue und Inhaltsstoffe wie Aluminium-  
salze und Titandioxid finde, wächst meine  
Skepsis noch ein wenig weiter. Aluminium-  
salze sind seit Jahren umstritten, nicht nur  
in Deos. Sie stehen unter Verdacht Alzhei-  
mer auszulösen beziehungsweise neben  
Titandioxid auch krebserregend zu sein.  
Zusätzlich sagt man Titandioxid nach, eine  
immunschwächende Wirkung zu besitzen.

Name und Anschrift des Autors sind der  
Redaktion bekannt



# Visuell Informativ



# Hilft!

**muko** <sup>tv</sup> Ein Projekt  
von CFlern für CFler!

**mukotv** ist eine Informationsplattform, die sich mit der Stoffwechselerkrankung *Mukoviszidose* beschäftigt. Betroffene, Familienangehörige sowie Interessierte erhalten hier direkt aktuelle Informationen und Wissenswertes über die Erkrankung. Schwerpunkt unserer Arbeit sind dabei professionelle Aufklärungsfilm, die einen umfassenden und authentischen Einblick in die Komplexität von *Mukoviszidose* gewähren.

Darüber hinaus halten wir regelmäßig Symposien filmisch fest, um insbesondere auch Betroffenen, die aufgrund der Keimproblematik nicht an diesen Veranstaltungen teilnehmen können, die Informationen zur Verfügung zu stellen.

**Neugierig?** Gleich auf [mukotv.de](http://mukotv.de) gehen und bereits produzierte Filme anschauen:  
Lungentransplantation (LTX) · Diabetes bei CF · Richtige Inhalation · Ärzte-Vorträge auf Symposien / bei öffentlichen Veranstaltungen

**muko**

tv

[www.mukotv.de](http://www.mukotv.de)  
[info@mukotv.de](mailto:info@mukotv.de)



**MUKOVISZIDOSE**  
Selbsthilfe Region Bremen e.V.

# Orkambi®

## Eine kritische Bestandsaufnahme

Orkambi® ermöglicht für homozygote  $\Delta F508$ -Patienten erstmals eine kausale Therapie der Mukoviszidose. In Deutschland übernimmt die Krankenkasse die Kosten, aber es wird in der Öffentlichkeit wenig über Nutzen und Risiken von Orkambi® diskutiert. Die mit Orkambi® verbundene Hoffnung und Begeisterung darf die Abwägung von Nutzen und Risiken aber nicht verhindern. Das gilt besonders für die prophylaktische Anwendung bei jungen Patienten mit guter Lungenfunktion. Wir, eine kleine Gruppe von Eltern und Patienten, wollen hier die offene Diskussion von kritischen Fragen anregen:

1

### Um wie viel verbessert Orkambi® die Lungenfunktion?

Orkambi® besteht aus zwei Wirkstoffen: Lumacaftor in der Dosierung 400 mg und Ivacaftor mit 250 mg pro 12h. In zwei Zulassungsstudien wurden insgesamt 740 Patienten eingeschlossen. Die Veränderung der Lungenfunktion war der „primäre Endpunkt“, also die wichtigste untersuchte Größe. Um wie viel hat sich in den Studien die Lungenfunktion verbessert? Gemessen wurde das anhand des „ppFEV<sub>1</sub>“ (percent predicted forced expiratory volume in 1 second), d.h. der maximalen Menge in einer Sekunde ausgeatmeter Luft in Prozent des vorhergesagten Durchschnittswertes Gesunder. Die absolute Änderung des FEV<sub>1</sub> % gegenüber Placebo betrug in den beiden Zulassungsstudien zusammengefasst am Ende von 24 Wochen +2,5 %-Punkte<sup>1)</sup> (in Worten: zweikommafünf Prozentpunkte).

2

### Ist die FEV<sub>1</sub>-Verbesserung um 2,5 %-Punkte relevant?

Spürt man überhaupt, wenn sich die Lungenfunktion um 2 bis 3 % verändert? Der gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) hat in seiner Bewertung<sup>2)</sup> kritisiert, dass die Patientenrelevanz für den primären Endpunkt FEV<sub>1</sub> % insgesamt unklar sei, da er nur ein stellvertretender Parameter für die Gesundheit und Lebensdauer des Patienten sei. Er wies auch darauf hin, dass nicht einmal jeder dritte Orkambi®-Patient eine FEV<sub>1</sub> %-Verbesserung um 5 % oder mehr erreichte. Die Pharmafirma (Hersteller) entgegnete auf diese Kritik in der Anhörung<sup>3)</sup>: Die Patienten empfänden einen „großen Nutzen“, und im Gegensatz zu symptomatischen Therapien führe Orkambi® dazu, dass die Patienten „tatsächlich weniger Mukoviszidose haben“.

3

### Wieviel ist ein Anstieg um 2,5 % im Vergleich?

Tobramycin (TOBI®) verbessert den FEV<sub>1</sub>-Wert um ca. 6 %-Punkte, Dornase alfa (Pulmozyme®) um ca. 4 bis 5 % Punkte, beide Medikamente können somit als „preiswerter“ angesehen werden. Sogar ohne Medikamente kann ein CF-Patient den FEV<sub>1</sub> um mehr als 2,5 % verbessern: Sport im Umfang von 3x 30 min pro Woche für ein halbes Jahr verbesserte die Lungenfunktion FEV<sub>1</sub> in einer kleinen Studie signifikant um ca. 10 % gegenüber der nicht-Sport-treibenden Gruppe. Auch die Fitness steigerte sich signifikant. In der Studie gab es keine unerwünschten Nebenwirkungen. In anderen Mukoviszidose-Studien wurde gezeigt, dass Sport die Lebensqualität signifikant erhöht.

4

### Warum steigt die Lebensqualität nicht an?

Lt. der Bewertung des G-BA<sup>2)</sup> ergeben die über die Laufzeit schwankenden Studienergebnisse zur Selbsteinschätzung der Lebensqualität in fast allen Teilauswertungen des Fragebogens (sog. „Domänen“) keine statistisch signifikanten Unterschiede (Statistiker bezeichnen ein Testergebnis als signifikant, wenn die Wahrscheinlichkeit dafür, dass das Testergebnis in Wirklichkeit falsch ist, unter einem vorher festgelegten Prozentsatz, meist 5 % liegt). Auch in der Fragebogenversion für Eltern und Betreuer ergaben sich für die meisten dieser Domänen keine statistisch signifikanten Ergebnisse. Warum die Lebensqualität am Ende der Studie von 24 Wochen keine signifikante Verbesserung gezeigt hat, bleibt unklar.

## 5 Ist der Rückgang von Exazerbationen signifikant?

Bei Zulassungsstudien wird im Voraus ein Plan veröffentlicht, wie die Studiendaten ausgewertet werden, um zu verhindern, dass nachträglich die Auswertungsweise angepasst wird, um bessere Ergebnisse auszurechnen. Dazu gehört auch eine Auswertungshierarchie: Nur wenn wichtiger eingeschätzte Parameter signifikant sind, werden auch weniger wichtige Parameter ausgewertet. Nach diesem Prinzip hätte der Rückgang der Exazerbationen der zwei parallelen Orkambi®-Zulassungsstudien nicht ausgewertet werden können, weil sich die hierarchisch höher eingestufte Lebensqualität nicht signifikant verbessert hatte<sup>4</sup>). Das veröffentlichte Ergebnis ist einfach die Zusammenfassung der Daten aus beiden Studien („pool“): In der Placebo-Gruppe haben in 24 Wochen 43 % eine Verschlechterung (Exazerbation) gehabt, verglichen zu 29 % in der Orkambi®-Gruppe. Andere Medikamente wie hypertone Kochsalzlösung, Pulmozyme und Azithromycin können Verschlechterungen (Exazerbationen) übrigens in vergleichbarer Weise senken. Eine pulmonale Exazerbation ist üblicherweise eine Verstärkung der Symptomatik, die eine Intensivierung der Behandlung erfordert. In den Zulassungsstudien wurde Exazerbation als Änderung in der Antibiotika-Therapie (IV, inhaliert oder oral) wegen mindestens vier Anzeichen aus einer Liste von Symptomen definiert. Stellen Sie sich vor: Der Patient kommt in die Ambulanz und erzählt: „Ich bin etwas müder als sonst, huste mehr, die Nase läuft, und das Sputum ist auch mehr geworden.“ Der Arzt sagt: „Dann inhalier doch mal 14 Tage Cayston statt Colistin.“ Schon trägt er eine Exazerbation ein! Könnte diese spezielle Definition zusammen mit der evtl. lückenhaften Verblindung (siehe unten) vielleicht schon erklären, warum Patienten mit Placebo etwas mehr Exazerbationen hatten?

## 6 Sind die Studien relevant für deutsche Patienten?

Lt. der Beurteilung des G-BA<sup>2)</sup> gibt es bei einigen Auswertungen Abhängigkeiten von der Region. Auf die kritische Frage des G-BA in der Anhörung<sup>3)</sup>, ob Orkambi® in Amerika mehr Effekte zeige als in Europa, reagierte die Pharmafirma: „Wir gehen davon aus, dass es sich überwiegend um *ein falsches positives Ergebnis* in dem Sinne handelt, dass (...) kein systematischer Unterschied besteht, den wir erklären können“ (Anhörung<sup>3)</sup>, Seite 16–17). Sollte diese Zurückhaltung dann nicht auch für die Studienergebnisse gelten, die für das Medikament sprechen? Der G-BA kommt zu dem Schluss (Nutzenbewertung<sup>2)</sup>, Seite 64): Die Übertragbarkeit der Studienergebnisse auf den deutschen Versorgungskontext *konnte nicht gezeigt werden!*

## 7 Was wissen wir über Nebenwirkungen?

Lt. den Zulassungsstudien<sup>2)</sup> sind schwere Nebenwirkungen selten und stehen noch seltener im Zusammenhang mit dem Medikament. Beispiele für unerwünschte Effekte waren erhöhte Leberwerte, Atemwegs-Symptome, reaktive Atemwegserkrankungen, Menstruationsstörungen. Lt. dem Hersteller war damit die Sicherheit und Unbedenklichkeit des Medikaments bewiesen.

Was passiert aber nach den 24 Studienwochen, im wirklichen Leben, wenn das Medikament auf Rezept verschrieben wird? Lt. einem Forbes-Zeitungsbericht vom März 2017<sup>5)</sup> hört „bis zu jeder dritte Patient“, der die Einnahme von Orkambi® außerhalb von klinischen Studien begonnen hatte, wegen Enge und Schwierigkeiten bei der Atmung wieder auf! Und in den Sozialen Medien und in persönlichen Mitteilungen wird nach längerer Therapiezeit neben dem bekannten Engegefühl über weitere ernste Symptome berichtet wie Schwindel, Akne, Sehstörungen, Haarausfall, Schwitz-Attacken und Depressionen, die im Studienzeitraum (noch) nicht auftraten. Einzelne Patienten berichten, dass ihnen die Haare in Büscheln ausfallen, so dass kahle Stellen bemerkbar sind.



Ärzte sind in Deutschland gesetzlich verpflichtet, schon den Verdacht auf Nebenwirkungen insbesondere neuer Medikamente an das Deutsche Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM) zu melden. In der Nebenwirkungs-Datenbank des BfArM<sup>6)</sup> sind bis Juni 2017 erst 19 Verdachtsfälle für Orkambi<sup>®</sup> gemeldet worden. Die Meldung des Verdachts von Nebenwirkungen ist aber eine gesetzliche Pflicht des Arztes. Wird Orkambi<sup>®</sup> z.B. wegen anhaltendem Engegefühl in der Lunge abgesetzt, müsste das in der Datenbank auftauchen. Auf die Meldung der Nebenwirkung sollten Patienten also in ihrem eigenen Interesse bestehen oder die Nebenwirkung selbst melden. Wie sonst soll sich die Behörde ein vollständiges Bild der Sicherheit des Medikaments machen?

## 8 Muss man bei Depressionen auch an Orkambi<sup>®</sup> denken?

Eine CF-Ambulanz in North-Carolina (USA) berichtet im März 2017<sup>7)</sup> von fünf weiblichen Jugendlichen, die nach Einnahme von Orkambi<sup>®</sup> Angstzustände und Depressionen bekommen haben, in dieser Ambulanz war das ein Viertel der weiblichen Jugendlichen, die Orkambi<sup>®</sup> genommen hatten. Zwei Mädchen haben im Verlauf einen Selbstmordversuch gemacht! Nach Absetzen von Orkambi<sup>®</sup> hat sich der Zustand bei vier von den fünf Mädchen innerhalb von drei Wochen wieder stark verbessert. Können wir das alleine mit den Wechselwirkungen zwischen Orkambi<sup>®</sup> und anderen Medikamenten erklären? Die Ärzte in North-Carolina vermuten eine direkte Wirkung von Orkambi<sup>®</sup> auf den Chloridkanal (CFTR) im Gehirn.

Die Pharmafirma hatte in beiden Zulassungsstudien vorher keine relevanten psychischen Nebenwirkungen festgestellt, lediglich zwei von neun Vorfällen wurden in Zusammenhang mit Orkambi<sup>®</sup> gebracht, weil Depression und Angst bei CF häufiger ist als bei Gesunden. Die Ärzte in North-Carolina empfehlen jedenfalls, bei Einnahme von Orkambi<sup>®</sup> engmaschig auf neue oder verstärkte Depressionen und Angstzustände zu überwachen und bei Depressionen das Medikament sofort abzusetzen.

## 9 Gab es evtl. Defizite bei der Verblindung?

Bei Doppelblindstudien soll die tatsächliche medizinische Wirkung eines Medikaments ermittelt werden. Deshalb führt man die Studie Placebo-kontrolliert durch und wertet nur die Differenz zwischen beiden Gruppen aus. Wichtig ist dabei, dass weder Patient noch Arzt wissen, ob Medikament oder Placebo zum Einsatz kommt. Diese notwendige Unkenntnis (Verblindung) kann schon durch eine geringe Nebenwirkung des Wirkstoffs zunichte gemacht werden. Was ist die Folge? Ein Patient, der ahnt, dass er „nur“ Placebo bekommt, und ein anderer, der ahnt, dass er einen Wirkstoff bekommt, beurteilen ihren Gesundheitszustand unterschiedlich (diesen Effekt kann man sogar messen, wenn tatsächlich beide Gruppen Placebo bekommen und eine Gruppe ergänzend lediglich einen harmlosen Stoff, der ein leichtes Kribbeln verursacht). Eine unzureichende Verblindung, auch wenn sie nur wenige Patienten der Studie betrifft, kann die Signifikanz eines Studienergebnisses künstlich erzeugen und den falschen Eindruck hervorrufen, unwirksame Medikamente seien wirksam<sup>8)</sup>.

Äußerungen von Studienteilnehmern lassen vermuten, dass die Verblindung in den Orkambi<sup>®</sup>-Studien nicht immer geklappt hat, weil als typische anfängliche Nebenwirkung ein „Purge“ berichtet wurde: Ein produktiver Husten, durch den man gefühlt das gesamte Sekret seiner Lunge heraushusten muss. Tritt der Purge auf, vermutet der Patient den Wirkstoff – bleibt er aus, schließt er auf Placebo. Viele Studienteilnehmer zeigten sich deshalb überzeugt, dass sie wussten ob sie Placebo hatten oder nicht. Auch hier bleibt also eine wichtige Frage: Ist das Studienergebnis trotz dieser möglichen Entblindung eines Teils der Patienten noch signifikant?

## 10 Warum wird der Preis geheim gehalten?

Orkambi® kostet lt. G-BA<sup>2)</sup> mit Folgekosten 195.993 Euro pro Jahr und pro Patient. Bei 2578 Patienten in Deutschland, für die es in Frage kommt (homozygot dF5o8), kann die Belastung des Gesundheitswesens auf ca. 500 Mio. Euro pro Jahr geschätzt werden. Zum Vergleich: Die Mukoviszidose-Versorgung in der CF-Ambulanz kostet incl. Personal- und Laborkosten etwa 2.000 Euro pro Patient und Jahr, also nur 1% dieser Medikamentenausgaben!

Die Weltgesundheitsorganisation WHO fordert eine Preisfindung, die sich am therapeutischen Zusatznutzen bemisst. In Deutschland ist das anders. Hier setzt die Pharmafirma einseitig ihren Listenpreis fest und verhandelt ihn anschließend mit den Krankenkassen. Beim Spitzenverband der gesetzlichen Krankenkassen (GKV) steht aber statt des Verhandlungsergebnisses zu Orkambi®: „Jahrestherapiekosten: Erstattungsbetrag vereinbart. Der Hersteller hat der Veröffentlichung nicht zugestimmt.“<sup>9)</sup> Warum hat ein gesetzlich versicherter Mukoviszidose-Patient nicht das Recht darauf, zu erfahren, welchen Betrag die Pharmafirma für ihr Medikament aus dem solidarischen

# ZURÜCK IN EINEN LEBENSWERTEN ALLTAG.

Herzlich willkommen im Zentrum für Präventiv- und Rehabilitationsmedizin, eingebettet in eine der schönsten Naturregionen Deutschlands, an der Nordseeküste Schleswig-Holsteins. In der Strandklinik St. Peter-Ording nutzen wir die Heilkraft der Nordsee für unsere Anwendungen. Erholen Sie sich mit allen Sinnen: Hören Sie das Meeresrauschen. Atmen Sie die frische Nordseeeluft. Schmecken Sie das Salz auf Ihren Lippen und erleben Sie die Weite des Horizonts.

Alle Zimmer sind mit Dusche, WC, Fernseher, Telefon und größtenteils Balkon ausgestattet. Darüber hinaus ist ein Internetanschluss verfügbar. In den Zimmern unserer CF-Patienten halten wir für hochkalorische Getränke einen eigenen Kühlschrank bereit. Nutzen Sie kostenlos unser Meerwasser-Thermalschwimmbad, Sauna, moderne Trainingsmöglichkeiten u.v.m.

Wir bieten unseren erwachsenen Mukoviszidose-Patienten:

- Eine 10-jährige Erfahrung in der rehabilitativen Behandlung
- Atemphysiotherapie einzeln durch geschulte Therapeuten
- Trainingstherapie einzeln oder in der Kleingruppe im modernen Trainingsbereich
- Schulung und Unterstützung bei Sauerstofflangzeittherapie und nicht-invasiver Beatmung
- Kostenlose Leihfahrräder inkl. Elektrofahrräder (gestiftet von der Regionalgruppe Nord von Mukoviszidose e.V.)
- Die Klinik ist Mitglied im Arbeitskreis Rehabilitation bei Mukoviszidose e. V.

Unser Motto lautet: Ankommen und durchatmen! Für weitere Informationen fordern Sie bitte unseren Hausprospekt an.

 **STRANDKLINIK  
ST. PETER-ORDING**  
*Wissen, was dem Menschen dient.*

Fachklinik für Psychosomatik, Pneumologie, Dermatologie, Orthopädie und HNO/Tinnitus  
Fritz-Wischer-Str. 3 | 25826 St. Peter-Ording | Telefon 04863 70601 | info@strandklinik-spo.de | www.strandklinik-spo.de

Gesundheitssystem erstattet bekommt? Diese Geheimhaltung widerspricht nach unserer Auffassung dem Grundsatz auf Zugang zu amtlichen Informationen nach §1 Informationsfreiheitsgesetz.

## 11 Auswirkung auf die Lebenserwartung?

Mit Orkambi® lebt man 6,8 Jahre länger – haben Fachleute der Pharmafirma ausgerechnet<sup>10)</sup>! Zur Berechnung dieser Zahl füttern sie ein mathematisches Modell mit Überlebensdaten aus Studien und Patientenregistern. Die Pharmafirma sieht darin einen bedeutsamen Nutzen und weist darauf hin, dass ein früherer Orkambi®-Behandlungsbeginn einen umso größeren Nutzen für das Überleben der Patienten haben könnte.

Von diesen Rechnungen verstehen wir nur so viel, dass unzählige geschätzte (!) Parameter miteinander verrechnet werden, bis 6,8 Jahre herauskommen. Aber wir wissen auch, dass schon vor Orkambi® ältere Patienten lebten, die ihre Überlebensspanne Jahrzehnte über die Voraussage ausgedehnt haben. Wie alt sie werden, weiß man überhaupt nicht, weil sich die CF-Bevölkerungspyramide in schneller Veränderung befindet! Wie man mathematisch von 2,5 % FEV<sub>1</sub>-Verbesserung auf 6,8 Jahre längeres Leben schließen kann, ist uns deshalb schleierhaft. Wie viele Todesfälle gab es im Studienzeitraum und wie viele in der „gematchten“ Kontrollgruppe? Lassen sich daraus wirklich statistisch belastbare Überlebenszeit-Unterschiede für Mukoviszidose-Patienten ableiten? Sind in die Analyse auch die Folgen von Nebenwirkungen eingeflossen? Spiegel-Autor Johann Grolle fasst seinen Eindruck so zusammen: „Ob Orkambi® das Leben verlängert, weiß niemand.“<sup>11)</sup>

## 12 Es bleiben wichtige Fragen

Wie steht die geringe Wirkung des Medikaments in Relation zum hohen Preis und zu den beobachteten Nebenwirkungen? Warum wird der abgerechnete Preis geheim gehalten? Warum wurde eine Verringerung von Exazerbationen gegen den ursprünglichen Auswertplan als signifikant veröffentlicht? Über alle diese Fragen sollten wir reden, meint Prof. Martin Mayer von der East Carolina University: „*Patienten verdienen eine transparente und verständliche Diskussion über Orkambi®, bevor sie diese therapeutische Option erwägen. (...) Hoffnung und Begeisterung für neue kausal wirkende CF-Therapien dürfen die Interpretation von Forschungsergebnissen nicht beeinflussen.*“<sup>4)</sup>

Die Namen der Autoren sind der Redaktion bekannt

1) Dossier zur Orkambi®-Nutzenbewertung, Modul 4, Grafiken auf Seite 112: Dreiecke für Orkambi®, Kreise für Placebo [https://www.g-ba.de/downloads/92-975-1265/2015-12-10\\_Modul4A\\_Lumacaftor\\_ivacaftor.pdf](https://www.g-ba.de/downloads/92-975-1265/2015-12-10_Modul4A_Lumacaftor_ivacaftor.pdf)

2) Nutzenbewertung [https://www.g-ba.de/downloads/92-975-1266/Nutzenbewertung\\_Lumacaftor\\_ivacaftor-G-BA.pdf](https://www.g-ba.de/downloads/92-975-1266/Nutzenbewertung_Lumacaftor_ivacaftor-G-BA.pdf) S. 22-24, 59-67

3) Anhörung zur Nutzenbewertung (S.16) [www.g-ba.de/downloads/91-1031-207/25-04-2016\\_Wortprotokoll\\_Lumacaftor-ivacaftor.pdf](http://www.g-ba.de/downloads/91-1031-207/25-04-2016_Wortprotokoll_Lumacaftor-ivacaftor.pdf)

4) „Lumacaftor-ivacaftor (Orkambi®) for cystic fibrosis: behind the ‘breakthrough’“ Prof. Martin Mayer, Department of Physician Assistant Studies, College of Allied Health Sciences, East Carolina University, Evid Based Med June 2016, Vol. 21, No. 3.

5) <https://www.forbes.com/sites/matthewherper/2017/03/29/is-vertexes-new-cf-drug-incremental-unprecedented-expensive-maybe-all-three/#2f640ad528b2>

6) [http://www.bfarm.de/DE/Arzneimittel/Pharmakovigilanz/RisikenMelden/uawDB/\\_node.html](http://www.bfarm.de/DE/Arzneimittel/Pharmakovigilanz/RisikenMelden/uawDB/_node.html)

7) „Case Report: Worsening anxiety and depression after initiation of lumacaftor/ivacaftor combination therapy in adolescent females with cystic fibrosis“ Cameron J. Mckenzie, Jennifer L. Goralski, Terry L. Noah, George Z. Retsch-Bogart, Mary Beth Prier, Journal of Cystic Fibrosis 16 (2017) 525–527.

8) Peter C. Gøtzsche: Tödliche Medizin und organisierte Kriminalität: Wie die Pharmaindustrie unser Gesundheitswesen korrumpiert (2014), S. 83-87

9) [https://www.gkv-spitzenverband.de/krankenversicherung/arzneimittel/verhandlungen\\_nach\\_amnog/ebv\\_130b/wirkstoff\\_489409.jsp](https://www.gkv-spitzenverband.de/krankenversicherung/arzneimittel/verhandlungen_nach_amnog/ebv_130b/wirkstoff_489409.jsp)

10) L. O’Callaghan et.al. (Vertex): „Modellierung des Nutzens einer Lumacaftor/ivacaftor-Behandlung für CF-Patienten mit homozygoter F508del-Mutation in einer deutschen Population“. 39. Jahrestagung der Gesellschaft für Pädiatrische Pneumologie e.V., Abstractband, Seite 114, C7

11) Johann Grolle in DER SPIEGEL <http://www.spiegel.de/spiegel/print/d-138148107.html>

# Arzneimittelpreise bei seltenen Erkrankungen

**Medikamentenentwicklung ist teuer. Von der Idee bis zum zugelassenen Medikament vergehen in der Regel mehr als zehn Jahre. Und oft zeigt sich im Verlauf der klinischen Entwicklung, dass aus der Idee kein Medikament werden wird. Wir haben bereits über den Ablauf der Medikamentenentwicklung berichtet (siehe auch muko.info Ausgabe 01/2012, Klinische Studien bei Mukoviszidose, S. 30).**

## **Nur Blockbuster sind wirtschaftlich**

In Deutschland wird der überwiegende Teil der Entwicklung von Medikamenten von pharmazeutischen Unternehmen durchgeführt. Die Entwicklung orientiert sich also nicht an neutral festgestellten Lücken in der Behandlung, sondern ist auch eine unternehmerische Entscheidung und folgt damit ökonomischen Überlegungen. In anderen europäischen Ländern, z.B. Italien ist das anders. Hier müssen Industrieunternehmen einen Teil ihrer Marketingausgaben in einen Fonds einzahlen, aus dem ökonomisch unabhängige Studien finanziert werden.

Unter rein ökonomischen Gesichtspunkten lohnen sich die hohen Entwicklungskosten und das hohe Risiko nur, wenn ein Medikament einen bestimmten Preis erzielt und an eine große Gruppe von Patienten abgegeben werden kann. Besonders häufig werden daher deshalb sogenannte Blockbuster entwickelt, die einen Umsatz von über 1 Mrd. Euro pro Jahr erzielen. Ein solcher Umsatz ist nur im Bereich von Volkskrankheiten möglich. Bei seltenen Erkrankungen geht das aufgrund der geringen Patientenzahl nicht. Daher wurde die Entwicklung von Arzneimitteln für seltene Erkrankungen lange vernachlässigt. Um Anreize für die Erforschung und Entwicklung von Arzneimitteln für seltene Erkrankungen zu

schaffen, verabschiedeten das Europäische Parlament und der Rat im Dezember 1999 die Regulation (EC) N° 141/2000 für Orphan Drugs, die am 22.1.2000 in Kraft trat. Danach können Unternehmen für ein Medikament gegen eine seltene Erkrankung den sogenannten Orphan Drug Status beantragen. Wird das Medikament zugelassen, erhält es in der EU eine zehnjährige Marktexklusivität (unabhängig vom Patentschutz) und es werden keine ähnlichen Medikamente zugelassen, solange diese keinen höheren therapeutischen Nutzen zeigen. Ganz wichtig: Die Anforderungen an die klinische Erprobung oder an die Zulassung ändern sich dadurch nicht. Es werden die gleichen hohen Anforderungen an Wirksamkeit und Verträglichkeit wie bei allen anderen Medikamenten gestellt.

Der Antrag auf einen solchen Orphan Drug Status erfolgt in Europa bei der europäischen Behörde EMA. Auch der Antrag auf Zulassung in Europa erfolgt bei der EMA. Diese Zulassung ist die Voraussetzung dafür, dass ein Medikament vom Arzt verordnet werden kann. Ob das Medikament dann von den Krankenkassen bezahlt wird, ist von Mitgliedsstaat zu Mitgliedsstaat in der EU ganz unterschiedlich (siehe auch Artikel muko.info Ausgabe 3/2016, Frühe Nutzenbewertung am Beispiel Orkambi).

## **Erstattung durch die Krankenkassen**

Deutschland ist dabei eines der wenigen Länder, in denen es gleich nach Zulassung durch die EMA eine Erstattung durch die gesetzlichen Krankenkassen gibt. D.h. die Pharmaunternehmen können einen beliebigen Preis festlegen, der ein Jahr lang von den Krankenkassen bezahlt wird. 13 Monate nach Zulassung wird dann durch den Gemeinsamen

Bundesausschuss festgestellt wie hoch der Zusatznutzen ist, der durch die Zulassung eines Orphan Drugs grundsätzlich als gegeben angesehen wird. Im Gemeinsamen Bundesausschuss sitzen unter anderem Vertreter der gesetzlichen Krankenkassen, der Krankenhäuser und der Kassenärzte. Auch Patientenvertreter werden gehört, sind aber nicht stimmberechtigt. Bei der Bewertung des Zusatznutzens gibt es unterschiedliche Vorgaben in abnehmender Gewichtung mit „erheblich“, „beträchtlich“ und „gering“. Zusätzlich gibt es die Kategorien „nicht quantifizierbar“, „kein Zusatznutzen“ sowie „geringerer Nutzen“. Wurde ein Nutzen festgestellt, verhandeln das Pharmaunternehmen und der Spitzenverband der gesetzlichen Krankenkassen den Betrag, für das das Medikament schließlich verschrieben werden kann.

Dieses Verfahren hat in der letzten Zeit zu Kritik geführt. Zwar wird der Preis von Arzneimitteln durch die Nutzenbewertung an dem Zusatznutzen orientiert, weiterhin können die Unternehmen aber im ersten Jahr der Marktzulassung ihre Preise selber festlegen. Das überfordere das Gesundheitssystem über kurz oder lang und gefährde die ausreichende und gerechte Versorgung der Patientinnen und Patienten mit Arzneimitteln, so viele Kritikerstimmen. Wir werden die Entwicklungen weiter für Sie beobachten und berichten.

**Dr. Miriam Schlangen**  
Leitung Fachbereich Forschung, Therapieförderung und Gesundheitspolitik  
Tel.: +49 (0) 228 98780-61  
E-Mail: MSchlangen@muko.info



# Make Selbsthilfe great again!

## Schwerpunkt-Thema der muko.info 1/2018

Woran liegt es, dass Selbsthilfe-, beziehungsweise Vereinsarbeit immer unbeliebter wird? Regionalgruppen selbst in großen Städten müssen aufgegeben werden, weil der Nachwuchs fehlt. Ist das Konzept „Selbsthilfe“ überholt? Was wird dann aber aus Spendenaktionen, die so viel Fortschritt in der Mukoviszidosen-Versorgung ermöglichen haben? Und was ist mit Fortbildungen für Physiotherapeuten oder der Lobbyarbeit, um unsere Interessen bei Politikern, Krankenkassen etc. zu vertreten? Was könnte das Image von Vereinsarbeit verbessern und wieder attraktiver machen? Haben Sie sich schon einmal engagiert? Vielleicht haben Sie schon einmal vom Engagement anderer profitiert? Aber auch umgekehrt: Was hat Sie bisher davon abgehalten, aktiv zu werden oder den persönlichen Kontakt zu suchen?

Miriam Stutzmann, CF-Selbsthilfe Braunschweig und Redaktionsmitglied

**Schreiben Sie uns – bitte maximal 300 Wörter und möglichst mit Bild**  
via E-Mail: [redaktion@muko.info](mailto:redaktion@muko.info) oder per Post an:  
Mukoviszidose e.V., Redaktion muko.info, In den Dauen 6, 53117 Bonn

**Redaktionsschluss für die muko.info 1/2018 ist der 12. Januar 2018**



### Tip

Ab der Ausgabe 3/2017 können Sie die muko.info auch alternativ auf Ihrem Smartphone oder Tablet lesen. Wie Sie das digitale E-Magazin bestellen können, erfahren Sie auf unserer Webseite unter:  
[www.muko.info/angebote/mediathek/mukoinfo](http://www.muko.info/angebote/mediathek/mukoinfo)

# HNO-Problematik bei Mukoviszidose

## Schwerpunkt-Thema der muko.info 2/2018

Wenn man an HNO-Probleme (Hals-Nasen-Ohren) denkt, dann sind die Bekanntesten wahrscheinlich die Nasenpolypen. Daneben gibt es bei CF aber leider noch mehr: Kopfschmerzen und Atemschwierigkeiten durch verstopfte Nase, Schwerhörigkeit und Tinnitus als Folge von IV-Antibiotika, Verlust oder Irritationen des Geruchs- und Geschmackssinns, Halsschmerzen, Heiserkeit, Stimmbandprobleme durch das viele Husten, Pilzinfektionen im Rachen als Nebenwirkung der Trockeninhalationen... Was haben Sie für Hilfsmittel und Tricks bei HNO-Problemen (Pari-Sinus, ätherische Öle, Akupunktur etc.)?

Wir freuen uns auf Zuschriften von Betroffenen, Eltern und auch Ärzten.

**Schreiben Sie uns – bitte maximal 300 Wörter und möglichst mit Bild**  
via E-Mail: [redaktion@muko.info](mailto:redaktion@muko.info) oder per Post an:  
Mukoviszidose e.V., Redaktion muko.info, In den Dauen 6, 53117 Bonn

**Redaktionsschluss für die muko.info 2/2018 ist der 6. April 2018**



### mukoblog

Gerne möchten wir in Zukunft Ihre vielen persönlichen Geschichten auch auf unserem Blog veröffentlichen (<http://blog.muko.info>). Wenn Sie dies nicht möchten, so teilen Sie es uns bitte mit, wenn Sie uns Ihren Artikel schicken.



# Vertex schafft neue Möglichkeiten im Bereich der Medizin, um das Leben der Menschen zu verbessern.

Wir arbeiten mit führenden Forschern, Ärzten, Sachverständigen für öffentliche Gesundheit und anderen Experten zusammen, die unsere Vision teilen: das Leben von Menschen mit schweren Krankheiten, ihrer Familien und der Gesellschaft zu verbessern.

[www.vrtx.com](http://www.vrtx.com)



# Förderpreis für muko.fit-transplant im Rahmen des Gilead Förderprogramms Infektiologie

Im April bewarb sich das muko.fit-Team mit dem Pilotprojekt muko.fit-transplant des Mukoviszidose e.V. für das Gilead Förderprogramm Infektiologie 2017. Hierbei sollen junge TX-Patienten mit einer nicht so günstigen sozialen Situation vor und nach einer Lungentransplantation (TX) ein Jahr lang intensiv begleitet werden. Die Auszeichnung in Höhe von 40.000 Euro nahm Sven Hoffmann vom muko.fit-Team im September in Dresden entgegen.

Viele Patienten werden in der Zeit rund um die Transplantation von Familie und Freunden unterstützt. Doch wenn ein guter sozialer Rückhalt fehlt, kann sich das auch negativ auf den Operationserfolg auswirken. Das Pilotprojekt muko.fit-transplant des Mukoviszidose e.V. unterstützt Jugendliche und junge Erwachsene, denen vor und nach der Transplantation die soziale Unterstützung fehlt.

## Pilotprojekt unterstützt junge Betroffene vor und nach der Transplantation

Zwei psychosoziale Interventionskräfte und eine Sporttherapeutin haben im Rahmen regelmäßiger Telefonate Kontakt zu den Betroffenen. Die Fachkräfte ermitteln in enger Abstimmung mit den betroffenen Familien und dem Behandlungsteam, welche Problemlagen und Ressourcen vorliegen. In einem Aktionsplan werden diese Aufgaben für die Betroffenen aufgenommen. Das muko.fit-Team unterstützt z. B. dabei, Sportangebote zu finden, vermittelt bei Bedarf weitere Hilfen, wie etwa einen Pflegedienst oder Physiotherapie, und steht für sozialrechtliche Fragen zur Verfügung.



Dr. Colin Wernsdörfer, Sven Hoffmann, Dr. Anne Bunte, Rainer Ehlers

## Interventionsprogramm erweitert

Mit dem Projekt muko.fit-transplant erweitert der Mukoviszidose e.V. sein bestehendes Interventionsprogramm muko.fit, durch das seit 2007 schwerkranke Mukoviszidose-Betroffene in besonders schwierigen Situationen begleitet werden. Bislang waren Betroffene, die vor einer Listung zur Transplantation standen, von der Teilnahme an muko.fit ausgeschlossen.

Zunächst werden zehn Patienten in das Projekt eingeschlossen, die über die Transplantationskliniken in Berlin (Charité) und Hannover (MHH) betreut werden. Wenn das Projekt erfolgreich ist und eine Anschlussfinanzierung über die Pilotphase hinaus gesichert werden kann, wäre es möglich, dieser Patientengruppe das Angebot längerfristig zur Verfügung zu stellen.

Dr. Corinna Moos-Thiele

Sportwissenschaftliche Beratung; Angebot muko.fit

Tel.: +49 (0) 228 98780-35

E-Mail: [CMoos-Thiele@muko.info](mailto:CMoos-Thiele@muko.info)

## Save the Date: Erwachsenentreffen in Bonn – 23. bis 25. Februar 2018

Vom 23. bis 25. Februar 2018 findet in Bonn wieder das jährliche CF-Erwachsenentreffen statt.

Unter dem Titel „muko.normal – unser Normal ist anders“ wollen wir der Frage nachgehen, wie wir unsere Normalität für uns zufriedenstellend gestalten können. Dies wollen wir noch einmal im Rahmen eines Filmprojektes tun. Alle CF-Erwachse-

nen, die Spaß an kreativer Arbeit und persönlichem Austausch haben, sind herzlich eingeladen am Erwachsenentreffen teilzunehmen und an dem Projekt mitzuwirken.

Nähere Infos, Flyer und Anmeldebogen erhalten Sie bei: [Barbara Senger, Referentin Selbsthilfe Erwachsene mit CF, BSenger@muko.info](mailto:BSenger@muko.info)



# 50 Jahre BAG SELBSTHILFE

## Bundespräsident Steinmeier würdigt Engagement

„Selbsthilfegruppen sind Keimzellen der Demokratie. Hier entstehen Impulse, für gemeinsame Rechte zu kämpfen.“ Mit dieser Grundsatzaussage begeisterte Bundespräsident Frank-Walter Steinmeier die 250 geladenen Gäste im Rahmen der Jubiläums-Matinée der Bundesarbeitsgemeinschaft (BAG) SELBSTHILFE am 22. September 2017 im Tagungszentrum Aquino in Berlin.

In seiner Rede forderte der Bundespräsident mehr Anstrengungen für die Inklusion Behinderter: „Es verträgt sich nicht mit unserer Demokratie, wenn Menschen ausgeschlossen werden. Es widerspricht unserer Vorstellung von einer offenen Gesellschaft, wenn Menschen im Alltag auf Hürden stoßen, die sie daran hindern, am öffentlichen Leben teilzunehmen“, stellte er heraus und beschrieb damit auch den Alltag der anwesenden Menschen. Der Bundespräsident würdigte ausdrücklich auch die Arbeit der BAG SELBSTHILFE in den vergangenen 50 Jahren auf dem Weg zu einer inklusiven Gesellschaft. Dr. Martin Danner, Bundesgeschäftsführer der BAG SELBSTHILFE verwies in seiner Rede auf wichtige Erfolge der Selbsthilfebewegung, wie beispielweise die Umsetzung der Patientenbeteiligung oder die Aufnahme des Diskriminierungsverbots für Menschen mit Behinderungen in das Grundgesetz. Er machte aber auch deutlich, dass es noch viele Ziele zu erreichen gibt und dass gerade durch den Wandel zu einer Wissens- und Informationsgesellschaft große Herausforderungen auf die Selbsthilfe warten.

Quelle: BAG SELBSTHILFE



Der Bundesvorstand sowie der Bundesgeschäftsführer der BAG SELBSTHILFE mit dem Bundespräsidenten. V.l.n.r.: Birgit Dembski, Barbara Kleinow, Dr. Martin Danner, Verena Gotzes, Rolf Flathmann, Frank-Walter Steinmeier, Prof. Dr. Joachim Baltes, Hannelore Loskill, Renate Pfeifer, Marion Rink

Die Redaktion der muko.info freut sich, dass Birgit Dembski, Mukoviszidose-Patientin und langjährige Gesundheitsreferentin des Mukoviszidose e.V., am 29.04.2017 in den Vorstand der BAG SELBSTHILFE gewählt wurde.

Liebe Birgit,  
wir beglückwünschen Dich zu diesem Ehrenamt und wünschen Dir für die Arbeit im BAG-S Vorstand Erfolg und eine glückliche Hand!

Stephan Kruij

## Gesundheitskosten-Soforthilfe

Mukoviszidose-Betroffene, die ein Einkommen auf Sozialhilfe- oder Grundsicherungsniveau haben, können einen pauschalen Kostenzuschuss von 50 Euro zu den von ihnen zu leistenden Arzneimittel-Zuzahlungen erhalten. Ein kurzes Schreiben mit Einkommensnachweis und Kontoverbindung an die Geschäftsstelle des Mukoviszidose e.V. reicht hierfür aus.

Mukoviszidose e.V., In den Dauen 6, 53117 Bonn  
0228 98780-0, info@muko.info



**MUKOVISZIDOSE** e.V.  
Helfen. Forschen. Heilen.



# Alles neu macht der Oktober

## Neue Internetseite [www.muko.info](http://www.muko.info) online



Und das ist sie: die neue [www.muko.info](http://www.muko.info).

**Sie möchten mehr über unsere neue Website erfahren?**

In unserem Blog haben wir für Sie ausführlich dargestellt, wie die neue Seite entstanden ist.

[http://blog.muko.info/neue\\_internetseite/](http://blog.muko.info/neue_internetseite/)

In unserem Tutorial haben wir außerdem für Sie dargestellt, wie Sie die neuen Möglichkeiten der Seite optimal nutzen können.

<https://www.youtube.com/watch?v=76dUDTHIVX4&t=2s>

### Nach einem Jahr intensiver Arbeit ist am 19. Oktober 2017 die neue Internetseite des Mukoviszidose e.V. online gegangen.

Endlich ist es soweit: Wir haben eine neue Internetseite. Der Schritt war nötig geworden, da die alte Seite nicht mehr zeitgemäß war. Sie ließ sich zum Beispiel auf Smartphones oder Tablets nicht navigieren. Zum anderen war auch die Technik veraltet und es drohten Sicherheitslücken. Die neue Seite ist nun mit der neuesten Technik ausgestattet, lässt sich auf allen Geräten öffnen und liefert alles Wissenswerte zur Mukoviszidose sowie zum Mukoviszidose e.V. – im neuen Design und mit neuer Struktur.

### Neue Seite mit Hilfe der Mitglieder konzipiert

Grundlage für die Entwicklung der neuen Internetseite war eine Befragung der Mitglieder im Sommer 2016. Dabei kam heraus, dass die meisten Nutzerinnen und Nutzer der alten Seite die für sie wichtigen Inhalte nicht fanden – zum Beispiel die Adressen von Mukoviszidose-Einrichtungen – und das Design mit den vielen Farben als zu kindlich empfunden wurde. Die Ergeb-

nisse dieser Befragung sind direkt in die neue Seite eingeflossen. Das Design ist jetzt schlichter, die Struktur ist angepasst worden und orientiert sich nicht mehr an der internen Struktur des Mukoviszidose e.V., sondern an den Inhalten.

### Und was ist neu?

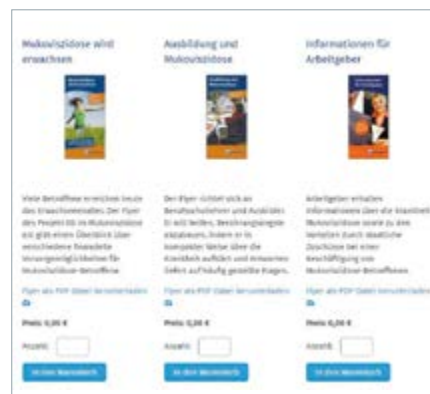
[www.muko.info](http://www.muko.info) bietet eine Reihe von neuen Funktionen: Adressen werden über praktische Karten dargestellt, auf denen Sie nach Ort oder Postleitzahl filtern können. Flyer, Broschüren und Bücher können Sie ab sofort direkt über die Seite bestellen, ohne zuvor eine Bestellliste herunterladen zu müssen. Die in Deutschland laufenden klinischen Studien können in einer aufbereiteten Liste eingesehen werden. Außerdem bietet die Seite die Möglichkeit, über das Feld „Ich bin“ nach Zielgruppen getrennt zu navigieren. Auch das war ein Wunsch aus der Mitgliederbefragung.

### Rückmeldungen sind jederzeit erwünscht

Die neue Seite ist kein statisches Produkt. Sie soll leben und sich immer weiterentwickeln. Daher freuen wir uns jederzeit über Ihre Rückmeldungen und Vorschläge.



Auf praktischen Karten finden Sie auf der neuen Internetseite die Adressen von CF-Einrichtungen, Physiotherapeuten, Ernährungsberatern, Selbsthilfegruppen und Reha-Einrichtungen.



Über ein Warenkorbsystem können Sie ab sofort ganz einfach Flyer, Broschüren und weiteres über unsere Seite bestellen.

**Juliane Tiedt**  
 Presse- und Öffentlichkeitsarbeit  
 Tel.: +49 (0) 228 98780-22  
 E-Mail: [JTiedt@muko.info](mailto:JTiedt@muko.info)



## Mehr Lebensaktivität bei **Mukoviszidose**

durch Antibiotika-Feuchtinhalation von Chiesi.



# Zweite CF-Erwachsenentagung

## 13. bis 15. Oktober 2017 in Hannover

**Fundierte Informationen, angeregte Diskussionen und eine super Stimmung – so lässt sich die Tagung mit wenigen Worten beschreiben.**

### Großes Interesse

Im Oktober lud der Mukoviszidose e.V. zum 2. Mal zur CF-Erwachsenentagung ein, diesmal nach Hannover. Schon im vergangenen Jahr fand mit der Erwachsenenentagung in Kassel, die erste Veranstaltung dieser Art statt und wie sich auch bei der diesjährigen Tagung gezeigt hat, stößt das angebotene Format einer Tagung nur für Erwachsene mit Mukoviszidose (Cystische Fibrose, CF) auf breite Zustimmung und großes Interesse. Dies haben die Anmeldezahlen auch in diesem Jahr wieder gezeigt. Eingeladen waren CF-Erwachsene und Jugendliche ab 16 Jahren mit ihren Partnern, Freunden, Geschwistern und ganz bewusst ohne Eltern. Damit lag der Focus auf dem Erfahrungsaustausch der Betroffenen untereinander.

### Fundierte Informationen

Die medizinischen Vorträge der Tagung, gehalten durch Ärzte der Medizinischen

Hochschule Hannover (MHH), widmeten sich der Interpretation von Untersuchungsergebnissen und Laborwerten und gaben außerdem einen spannenden Einblick in neue Forschungsergebnisse und Therapiemöglichkeiten.

Für die Tagungsteilnehmer ging es außerdem um die Auseinandersetzung mit dem Thema „Berufsalltag und Erkrankung“ sowie den Herausforderungen, denen sich jede(r) Betroffene in einer Erwachsenenambulanz gegenüber sieht.

Angehörige und Freunde von CF-Betroffenen hatten ebenfalls die Möglichkeit sich auszutauschen. Ein wichtiger Aspekt hierbei war die Frage nach der Balance zwischen der Unterstützung des Angehörigen und dem Haushalten mit den eigenen Kräften und Ressourcen.

### Besuch Haus Schutzengel

Außerdem gab es, durch unseren Aufenthalt in Hannover, die Möglichkeit, das Haus Schutzengel kennenzulernen. Helga Nolte, die das Haus seit vielen Jahren leitet, berichtete über die Geschichte des Hauses und wie es genutzt wird.

### Ausblick

Wir freuen uns, dass wieder so viele erwachsene Betroffene und ihre Partner / Freunde unsere Themenauswahl interessant fanden und sich auf den Weg zur CF-Erwachsenentagung gemacht haben, und möchten uns an dieser Stelle noch einmal sehr herzlich bei allen bedanken, die an dieser gelungenen Tagung mitgewirkt und sie so erst möglich gemacht haben.

Auf ein Wiedersehen bei der nächsten CF-Erwachsenentagung vom 07. bis 09. September 2018 in Hannover freuen sich die Organisatoren.

Barbara Senger, Janine Fink und Thomas Malenke

Den ausführlichen Artikel zur Tagung gibt es auf unserem Blog zu lesen:

<http://bit.ly/2zqAD4l>

### Neugierig geworden?

Vom 07.–09.09.2018 gibt es die nächste CF-Erwachsenentagung in Hannover – mit Partnern, Geschwistern und Freunden – ohne Eltern.

Infos bei:

Barbara Senger,  
E-Mail: [BSenger@muko.info](mailto:BSenger@muko.info),  
Tel.: +49 (0) 228 98780-38;  
Janine Fink,  
[JFink@muko.info](mailto:JFink@muko.info), oder  
Thomas Malenke,  
WhatsApp: 0176 5195 4008



# Zweite Selbsthilfe-Tagung der AG Selbsthilfe in Würzburg



Teilnehmer der zweiten Tagung der AG Selbsthilfe



Stadtführung am Main: Schorsch steht mit uns am Meë (Main) mit Blick auf die Festung Marienberg.

**Auf Einladung der Regionalgruppe Unterfranken fand die zweite Tagung der AG Selbsthilfe in Würzburg statt. Hier trafen sich die Sprecher / Bevollmächtigten der Gruppen. Insgesamt konnten fünf neue Ansprechpartner aus den Regionen Essen, Hamburg, Unterfranken, Saar-Pfalz und Lippe begrüßt werden.**

## **Sport und Mukoviszidose – Motivation zum Sport bei Kindern**

Dr. Alexandra Hebestreit vom Universitätsklinikum Würzburg stellte Studienergebnisse zu sportlichen Aktivitäten bei Kindern vor. Als zentrale Aussage lässt sich festhalten, dass sportliche Aktivitäten den Allgemeinzustand der Mukoviszidose-Patienten verbessern. Besonders hob Dr. Hebestreit hervor, dass die Eltern einen aktiven Lebensstil ihren Kindern vorleben sollten.

## **Engagement ist gefragt!**

Wie können Interessierte Eltern oder Patienten für die Selbsthilfearbeit gewonnen werden? Neben dem Seminarwochenende „Fit für die Selbsthilfe“ sind Aktivitäten/Gespräche in der Region sehr wichtig. Holger Thomaka, Sprecher der Regionalgruppe Ruhrgebiet, informierte über das Beispiel der „Dependance“ Essen. Nach der Jahrestagung 2016 in Gladbeck konnte das Ehepaar Höller gewonnen werden, um Eltern und Patienteninte-

ressen im Raum Essen zu vertreten. In enger Zusammenarbeit mit der Gruppe Ruhrgebiet werden Aktionen geplant und abgestimmt, ohne direkt eine eigene Selbsthilfegruppe zu gründen. Hut ab für diesen Weg der kleinen Schritte!

## **Regionalgruppe Unterfranken**

Rosalie Keller brachte den Anwesenden die gastgebende Regionalgruppe Unterfranken näher. Die Gruppe wurde 1988 gegründet, wird also im nächsten Jahr 30 Jahre alt und betreut rund 120 Mitglieder.

## **Erst die Arbeit, dann das Vergnügen**

In Würzburg konnten die Anwesenden nach dem ersten Sitzungstag einen kleinen abendlichen Stadtrundgang mit Schorsch genießen. Schorsch (ein Urfranke) gab sein Wissen über die Historie der Stadt in fränkischer Mundart weiter. Der Abend wurde mit einer zünftigen Weinprobe abgeschlossen.

Ein Dank für die organisatorische Vorbereitung gilt der Regionalgruppe Unter-

franken, insbesondere der Sprecherin Rosalie Keller.

## **Neue Pflegegrade und ihre Auswirkungen**

Doris Vizethum-Walter (Beratungsstelle Würzburg) stellte die neue Beurteilungsphilosophie in der Pflegeversicherung vor. Die Pflegestufen wurden in Pflegegrade verändert. Neu ist, dass sich der Pflegegrad künftig anhand der Schwere der Beeinträchtigung bemisst.

## **Schaffung neuer Strukturen auf Landesebene**

Der Impulsvortrag von Harro Bossen und Wilhelm Bremer stellte die Notwendigkeit zur politischen Einflussnahme in der Gesundheitspolitik auf Landesebene heraus. Ein Hauptthema in dieser politischen Arbeit wird die Versorgung der erwachsenen Patienten werden. Hierzu stellte Wilhelm Bremer ein Positionspapier vor. Beide Konzepte sollen Workshop-Themen auf der nächsten Selbsthilfe-Tagung werden.

[Dietmar Giesen](#)

[Regionalgruppe Krefeld /Niederrhein](#)

## **Selbsthilfe-Tagungen 2018:**

**02. – 04. März 2018 in Bonn und 14. – 16. September 2018 in Dillingen/Saar**

Uns ist der Erfahrungs- und Informationsaustausch wichtig!

An alle AnsprechpartnerInnen der Regionalgruppen und Selbsthilfevereine im Mukoviszidose e.V.: Termin bitte vormerken!



# Internationale Wissenschaftler diskutierten über Organoide in der Mukoviszidose-Forschung

## Scientific Meeting des Mukoviszidose e.V.

Beim Scientific Meeting des Mukoviszidose e.V., das am 21. und 22. September 2017 im Schloss Waldthausen bei Mainz stattfand, diskutierten 50 Wissenschaftlerinnen und Wissenschaftler aus den USA, England, Frankreich, Belgien, den Niederlanden, Spanien, Italien und Deutschland über das Thema Organoide und ihre Bedeutung für die Mukoviszidose-Forschung.

Organoide sind im Labor angezüchtete Miniatur-Organen (vgl. muko.checker Heft 1/2017). Forscher können inzwischen die Bedingungen im Labor so nachstellen, dass aus einzelnen Stammzellen Herz-, Nerven-, Darm- oder auch Lungengewebe ausgebildet wird. Damit sind zwei ganz entscheidende Vorteile verbunden: Einerseits helfen diese Mini-Organen dabei, die Entstehung einer Erkrankung wie Mukoviszidose zu beobachten und dadurch besser zu verstehen. Andererseits können die Organoide patientenindividuell aus Blut, Haut oder anderen Gewebeprobe hergestellt werden und ermöglichen so eine individuelle Testung von Medikamenten – ein Schritt in Richtung „personalisierte Medizin“.

Da der Einsatz von Organoiden in der Mukoviszidose-Forschung diskutiert wird, lud der Mukoviszidose e.V. im September Organoid-Experten ins Schloss Waldthausen ein, um die Möglichkeiten dieser Mini-Organen zu diskutieren. Das Programm hatten Professor Dr. Burkhard Tümmler (Hannover), Dr. Silke van Koningsbruggen-Rietschel (Köln) und Dr. Nico Derichs (Berlin) zusammengestellt.

### Organoide in der Mukoviszidose-Forschung

In seinem Keynote-Vortrag stellte Professor Jeffrey Beekmann (Utrecht, Niederlande) seine Organoid-Forschung vor. Aus „intestinalen Organoiden“, die relativ einfach im Labor aus Darmzellen eines Patienten herzustellen sind, entwickelte er einen Labortest für die Mukoviszidose-Forschung. Dieser Test kann vorhersagen, ob ein Patient auf einen Wirkstoff ansprechen wird oder nicht. Er ist inzwischen in Mukoviszidose-Forschergruppen in Belgien und Portugal etabliert und soll auch europaweit eingesetzt werden. In einem geplanten europäischen Projekt, so berichtete Professor Kris De Boeck (Leuven, Niederlande), die Präsidentin der European Cystic Fibrosis Society (ECFS), soll die Methode eingesetzt werden, um Mukoviszidose-Patienten mit ganz seltenen Mutationen zu helfen, eine individuelle, für sie wirksame Therapie zu finden.

### Medikamente für die „Seltenen der Seltenen“

Auch die amerikanische Cystic Fibrosis Foundation (CFF) setzt auf individuelle Zellmodelle, wie Dr. Katherine Tuggle (Boston, USA) in ihrem Vortrag erläuterte. Sie sieht in guten Zellmodellen eine Möglichkeit, Zulassungsbehörden davon zu überzeugen, mutationsspezifisch zugelassene Medikamente auch für andere Mutationen zu genehmigen – wenn eine Wirksamkeit in Zellmodellen gezeigt werden konnte. Denn klinische Studien sind bei ganz seltenen Mutationen aufgrund der wenigen Patienten oft gar nicht durchführbar. Aus diesem Grund unterstützt die CFF auch Projekte zur Untersuchung der Wirksamkeit von Medikamenten an Zellmodellen für die Mukoviszidose-Forschung.



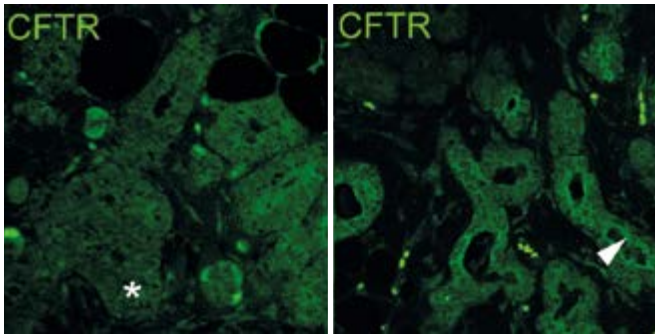
Prof. Hugo De Jonge



Prof. Jeffrey Beekmann



Prof. David Sheppard



Pankreas-Organoiden von CF-Patienten (links) und gesunden Kontrollen (rechts). Abbildung mit Genehmigung von Meike Hohwieler, AG Alexander Kleger, Universitätsklinik Ulm.

Ein Beispiel dafür ist die Forschung von Dr. Katherine Benson McCauley (Boston, USA). In ihrem Vortrag zeigte sie überzeugende Daten und Bilder von Lungen-Organoiden. Diese werden im Labor durch Umprogrammierung z. B. aus Hautzellen gewonnen, die zu Lungengewebe herangezüchtet werden, eine sehr aufwändige Methode, die derzeit noch nicht routinemäßig angewendet werden kann. Auch Professor Ulrich Martin (Hannover) nutzt eine ähnliche Methode und hat in seinem Labor bereits Zelllinien von Mukoviszidose-Patienten etabliert, die derzeit in einem europäischen Projekt eingesetzt werden, um systematisch nach neuen Medikamenten für die Mukoviszidose-Therapie zu suchen.

### Untersuchungen zu Wirkmechanismen benötigen weitere Methoden

Aber auch wenn Organoiden derzeit einen regelrechten Hype erfahren und durch sie nun ein relativ einfaches Verfahren vorliegt, um die Wirksamkeit von Substanzen bei Mukoviszidose außerhalb des Patienten zu testen, muss manchmal doch genauer hingeschaut werden. Vor allem, wenn es darum geht, Mutationen und deren Auswirkungen für die Zelle wirklich auf den Grund zu gehen, sind weitere Verfahren nötig. Denn der verfügbare Organoid-Test gibt keine Auskunft darüber, wie und wo Substanzen genau wirken. Das heißt, für die Entwicklung von neuen Substanzen, basierend auf neuen Wirkmechanismen



Prof. Kris De Boeck

wird man weiterhin auch auf andere Methoden zurückgreifen müssen, wie Professor David Sheppard (Bristol) und Professor Hugo De Jonge (Rotterdam) anhand ihrer elektrophysiologischen Daten zeigten.

### Nachwuchsförderung des Mukoviszidose e. V. als Chance

Die Forschungsgemeinschaft Mukoviszidose (FGM), die die Durchführung der Veranstaltung angeregt hat, zeigte sich sehr zufrieden mit dem Verlauf des Scientific Meetings. „Viele Arbeitsgruppen in Deutschland arbeiten schon länger an Organoiden und Zellmodellen. Unsere Aufgabe ist es, die Expertise dieser Arbeitsgruppen auf die Mukoviszidose-Forschung zu lenken. Die Nachwuchsförderung des Mukoviszidose e.V. kann hier sicherlich helfen, junge Forscher langfristig an die Mukoviszidose-Forschung zu binden“, sagte Professor Helge Hebestreit (Würzburg), 1. Vorsitzender der FGM.

Dr. Sylvia Hafkemeyer

Wissenschaftliche Referentin

Tel.: +49 (0) 228 98780-42

E-Mail: [SHafkemeyer@muko.info](mailto:SHafkemeyer@muko.info)

# Nachruf für einen außergewöhnlichen Menschen

**PD Dr. med. Joachim Riethmüller,**  
Med. Uni-Kinderklinik Tübingen

Familienvater, Arzt, Forscher, Freund und  
Vorstandsmitglied des Mukoviszidose e.V. Landesverband  
Baden-Württemberg.

Der Mukoviszidose e.V., ein besonderer Verein, der für die  
Kooperation von Betroffenen, Angehörigen, ärztlichen,  
nicht-ärztlichen Therapeuten, Forschung, Wissenschaft und  
Industrie steht.

**Joachim Riethmüller, ein Mensch, der diese Institutionen  
in sich vereinte.**

Im Namen aller Kollegen, Mitarbeiter, Aktiven in der Selbsthilfe  
und aller Patienten möchte ich die Lebensleistung von Herrn  
PD Dr. med. Joachim Riethmüller beschreiben und Sie werden  
erahnen, welchen unersetzbaren Verlust wir durch seinen uner-  
warteten Tod haben.

Als Vorstandsmitglied des Mukoviszidose e.V. Landesver-  
bandes Baden-Württemberg hat er sich für die Verbesserung  
der Versorgung von Patienten mit Mukoviszidose mit all seinen  
Möglichkeiten eingesetzt. Außerdem hat er sich in der For-  
schungsgemeinschaft Mukoviszidose (FGM) und der Arbeits-  
gemeinschaft der Ärzte im Mukoviszidose e.V. (AGAM) enga-  
giert.

1990, als Arzt im Praktikum, begann er seine berufliche Kar-  
riere an der Universitätskinderklinik in Tübingen. 1999 erhielt  
er die Facharztanerkennung für Kinderheilkunde, 2000 die  
Zusatzbezeichnung pädiatrische Intensivmedizin und 2010 die  
Zusatzbezeichnung pädiatrische Pulmologie. 2011 folgten die  
Habilitation und die Ernennung zum Privatdozenten.

Von Anfang an interessierte er sich für Lungenerkrankungen  
und leitete seit dem Jahr 2000 ein Forschungslabor, welches  
sich mit der Pathologie und Diagnose von Lungenerkrankungen  
befasste. Dementsprechend arbeitete er überwiegend in der  
Ambulanz für Patienten mit Mukoviszidose und übernahm im  
Jahr 2013 deren Leitung.



PD Dr. Joachim Riethmüller, verstorben am 31.07.2017

Darüber hinaus war er maßgeblich am Aufbau eines pädiat-  
rischen Studiensekretariats beteiligt und leitete dieses seit  
dem Jahr 2004. Zusätzlich war er stellvertretendes Mitglied  
der Ethikkommission der Landesärztekammer Baden-Württem-  
berg und seit 2010 stellvertretender Leiter des Zentrums für  
pädiatrische klinische Studien und des Zentrums für klini-  
sche Studien am Universitätsklinikum Tübingen. Im Jahr 2012  
wurde das CCFC Tübingen-Stuttgart gegründet, welches die  
Versorgung der Patienten weiter strukturieren sollte und den  
Zugang zu internationalen Studienteilnahmen sicherstellte.  
Er war maßgeblich am Qualitätszirkel der CF-Ambulanzleiter  
in Baden-Württemberg beteiligt.

Er war ein Vordenker, Querdenker und Macher.

Nicht immer war es leicht mit ihm zu arbeiten, aber nicht, weil  
er es einem schwer gemacht hat, sondern weil es teils schwer,  
teils unmöglich war, seinem Tempo, seiner Kompetenz und  
seinem beweglichen Geist zu folgen. Mit ihm Schritt zu halten,  
war eine Herausforderung. Er hat motiviert, polarisiert und an-  
dere zum Denken angeregt. Er war jederzeit für Fragen, Ideen  
und Anregungen aller Berufsgruppen offen. Dies führte 2016  
zur Erweiterung der Weitenburg-Tagung zu einem interdisziplinä-  
ren Netzwerktreffen in Baden-Württemberg.

Immer setzte er sich kompromisslos für seine Patienten ein,  
ihr Wohlergehen stand bei ihm an allererster Stelle und er hat

keine Mühen oder bürokratische Hürden gescheut, alles menschenmögliche und medizinisch Machbare zu tun.

Im Umgang mit seinen Patienten und deren Eltern hatte er eine besondere Gabe. Durch individuelle, teils unkonventionelle Behandlungsstrategien förderte er die Mitarbeit der Patienten. Er war in der Lage, sowohl Betroffenen wie auch Angehörigen Sicherheit und Zuversicht für den Umgang mit der Erkrankung zu vermitteln.

Dabei waren seine Behandlungsstrategien in der „CF-Gemeinde“ nicht immer unumstritten, aber das hielt er aus mit der Überzeugung, Betroffenen zu helfen.

Er stand Tag und Nacht als Ansprechpartner bereit, sowohl für seine Patienten wie auch deren Eltern, wenn notwendig besuchte er sie auch zuhause.

Er konnte andere für seine Forschung und Arbeiten begeistern. Er begleitete kritisch und zugleich konstruktiv junge Wissenschaftler. Teamorientiert motivierte er mit seiner zugewandten Art seine Mitarbeiter zu Höchstleistungen. Auch deswegen reicht der Ruf der Mukoviszidose-Ambulanz der Kinderklinik Tübingen weit über die regionalen Grenzen hinaus.

In der letzten Woche vor seinem Tod hat Prof. Dr. med. Handgredinger, Ärztlicher Direktor der Medizinischen Universitätskinderklinik Tübingen, die Unterlagen fertiggestellt, um für ihn den Titel des außerplanmäßigen Professors zu berufen.

Wir werden alles dafür tun, dass sein Vermächtnis fortgesetzt werden kann und ihn dankbar in Erinnerung behalten.

Unsere Gedanken sind bei ihm und seiner Familie.

Als sein Freund und Vorsitzender des Mukoviszidose e.V. Landesverband Baden-Württemberg

Thomas Becher

Stuttgart, September 2017

# Atmung, Stoffwechsel und Blutkreislauf

## Physikalisch-chemische Grundlagen in Zahlen

**Der Mensch setzt pro Minute etwa 0,4 Liter Sauerstoff um, verbraucht pro Minute 8,9 Kilojoule Energie und das menschliche Herz transportiert pro Minute etwa 4,2 Liter Blut. Wer sich schon immer gefragt hat, wie solche Zahlen entstehen, wird sich über den Text freuen, den wir auf der Internetseite der TU Braunschweig gefunden haben.**

Warum schlägt ein menschliches Herz eigentlich etwa 60 mal pro Minute und nicht etwa 5 mal wie beim Blauwal oder 200 mal wie beim Kaninchen? Die Verbindung der Herzfrequenz zu anderen physiologischen Vorgängen wie Atmung und Energieumsatz erklärt Professor Rainer Müller, Physiker an der Technischen Universität Braunschweig, in seinem Essay über „Atmung, Stoffwechsel und Blutkreislauf“. Mit der Stoffwechsellaktivität als zentralem Schlüsselfaktor für Atmung und Blutkreislauf lässt

sich durch einfache Berechnungen des Sauerstoffumsatzes und des Herzvolumens auf den Energieumsatz (Kalorienverbrauch) schließen. Der Artikel handelt leider nur vom gesunden Menschen und berechnet nicht die besondere Situation bei Mukoviszidose, ist aber dennoch sehr zu empfehlen für Wissbegierige, die der Physik und Chemie zugetan sind.

Dr. Uta Düesberg  
Wissenschaftliche Referentin  
Tel.: +49 (0) 228 98780-45  
E-Mail: [UDuesberg@muko.info](mailto:UDuesberg@muko.info)

**Tipp:**  
<https://www.tu-braunschweig.de/Medien-DB/ifdn-physik/atmungstoffwechsel.pdf>



# Zertifizierung der Mukoviszidose-Einrichtungen

## Zertifizierungsverfahren weiterentwickelt

Im Rahmen des Anerkennungsverfahrens wird die Versorgung von Patienten in Mukoviszidose-Einrichtungen seit 2010 zertifiziert. Die Zertifizierung dient den Einrichtungen dazu, systematisch Verbesserungen zu erarbeiten und Impulse und Unterstützung für die Entwicklung der Versorgungsqualität zu bekommen. Dem Patienten wird mit dem Zertifikat verdeutlicht, dass ein Katalog von Kriterien in dieser Ambulanz erfüllt und die Versorgungsqualität geprüft ist.

Ein Zertifikat ist drei Jahre gültig, danach muss eine Re-Zertifizierung beantragt werden. Es werden Zertifikate für die Versorgung von Kindern /Jugendlichen, Erwachsenen oder für die Versorgung aller Altersklassen ausgestellt. Das Verfahren unterscheidet zwischen einem Basis-Zertifikat und einem Zertifikat „Plus“, für das zusätzliche Kriterien erfüllt werden müssen.

Während der Laufzeit von drei Jahren werden durch das gesamte Zertifizierungsgremium – bestehend aus erfahrenen Mukoviszidose-Ärzten, Patientenvertretern und ausgewiesenen Qualitätsmanagement-Experten – fortlaufend Diskussionspunkte notiert, die Relevanz der Kriterien hinterfragt und Verbesserungsvorschläge gesammelt. Denn Qualität in der Versorgung kann kein starres Thema sein, da sich im Lauf der Zeit die Bedürfnisse der Patienten und die Ausstattung des Gesundheitssystems ändern können. Ein Beispiel dafür ist die erfreuliche Entwicklung, dass immer mehr Patienten mit Mukoviszidose (cystische Fibrose, CF) erwachsen werden. Damit verändern sich aber auch die Anforderungen an die medizinische Versorgung, z. B. zu Folgen oder Spätsymptomen der Mukoviszidose wie Diabetes oder Osteoporose, aber auch durch Fragen zu Kinderwunsch und Geburtshilfe. Die Versorgung muss daher an die Bedürfnisse angepasst werden und damit verbunden auch die Qualitätsansprüche, die die Zertifizierung an die CF-Einrichtungen stellt.

### Zertifizierungskriterien werden alle drei Jahre überarbeitet

Basierend auf neuen wissenschaftlichen Erkenntnissen und Qualitätsentwicklungen werden die Kriterien für die Zertifizierung von Mukoviszidose-Einrichtungen alle drei Jahre angepasst und weiterentwickelt. Dazu trifft sich die Expertengruppe mehrmals, diskutiert alle relevanten Fragestellungen und konsentiert die Änderungen der Kriterien. Der Entwurf wird dann durch den Beirat für Therapieförderung und Quali-

tät (TFQ), in dem die Behandler- und Selbsthilfe-Gremien des Mukoviszidose e.V. vertreten sind, geprüft und freigegeben. Koordiniert durch das Mukoviszidose Institut entsteht dadurch ein aktualisierter Online-Kriterienkatalog, den die CF-Einrichtungen bei Antragstellung ausfüllen. Das Verfahren selbst ist akkreditiert, also anerkannt von den beiden medizinischen Fachgesellschaften Deutsche Gesellschaft für Pneumologie und Beatmungsmedizin e.V. (DGP) und Gesellschaft für pädiatrische Pneumologie e.V. (GPP).

### Re-Zertifizierung 2017 ist gestartet

Nach Überarbeitung des Kriterienkatalogs wie oben beschrieben wurde das Zertifizierungsverfahren im Mai 2017 mit aktualisierten Kriterien aufgenommen. Neu entwickelt wurden auch die Kriterien für die Verbund-Zertifizierung und die Kooperation von CF-Einrichtungen.

Im Zertifizierungszeitraum 2014 bis 2016 wurden 56 CF-Einrichtungen zertifiziert, davon 31 für die Versorgung von Kindern und Jugendlichen, 10 für die Versorgung von Erwachsenen und 15 für die Versorgung aller Altersklassen. Die Re-Zertifizierung 2017 haben in den ersten 6 Monaten schon mehr als 30 CF-Ambulanzen beantragt.

Dr. Uta Düesberg

Wissenschaftliche Referentin

Tel.: +49 (0) 228 98780-45

E-Mail: [UDueesberg@muko.info](mailto:UDueesberg@muko.info)



# Ablauf des Zertifizierungsverfahrens

## 1. Beantragung der Zertifizierung

Die CF-Einrichtung schickt das ausgefüllte Antragsformular (zum Download unter [www.muko.info/zertifizierung](http://www.muko.info/zertifizierung)) an die Koordinationsstelle im Mukoviszidose Institut. Dort wird der Zugang zum Online-Kriterienkatalog erstellt und an den Antragsteller geschickt. Ist der Fragenkatalog vollständig ausgefüllt, prüft die Koordinationsstelle, ob der Antrag formal korrekt ist und leitet die Begutachtung ein.

## 2. Begutachtung

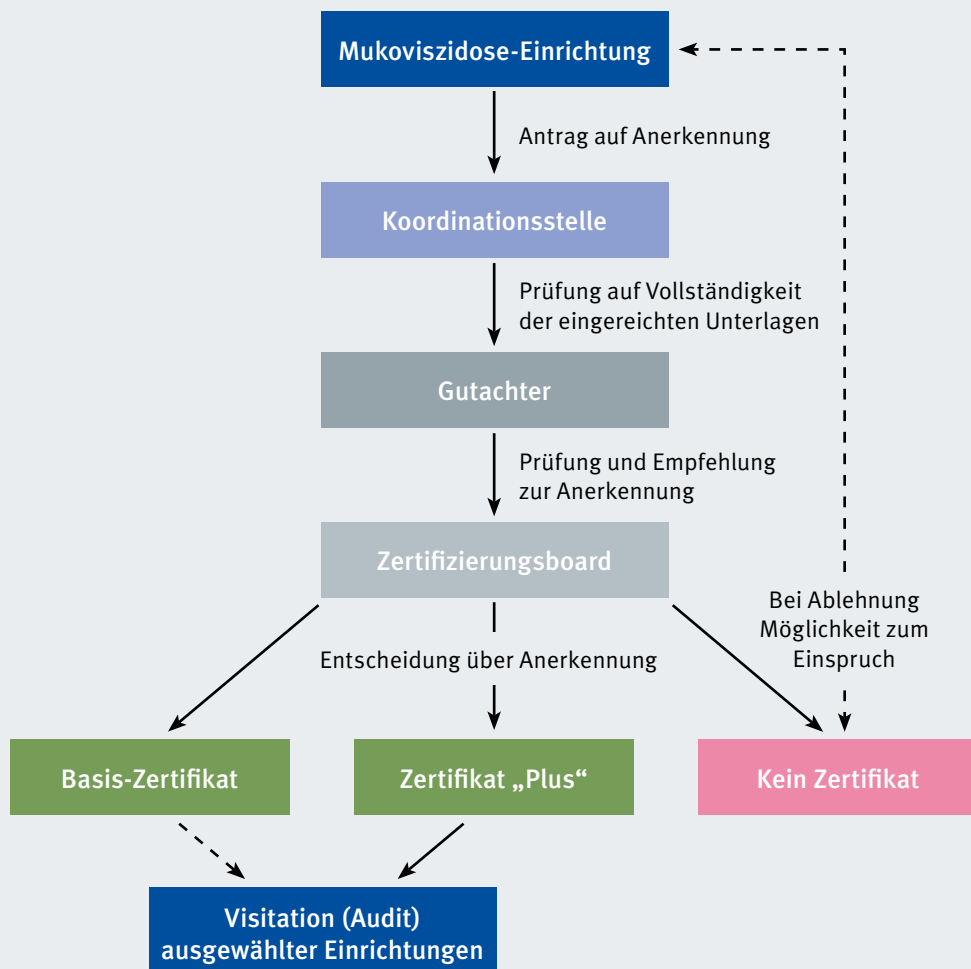
Ein Gremium aus 14 Gutachtern, das aus CF-Ärzten und Patientenvertretern besteht, prüft den Antrag inhaltlich und spricht eine Empfehlung für die Zertifizierung aus.

## 3. Zertifizierungsentscheidung

Das Zertifizierungsboard, an dem Vertreter der Fachgesellschaften DGP und GPP beteiligt sind sowie ein Patientenvertreter und ein Mitglied des TFQ-Beirates, diskutiert und entscheidet über die Erteilung des Zertifikates. Die Entscheidung wird der beantragenden CF-Einrichtung durch die Koordinationsstelle mitgeteilt. Die CF-Einrichtung kann Einspruch gegen die Entscheidung einlegen.

## 4. Visitation

Mindestens 20% der CF-Einrichtungen (zufällig ausgewählt) und alle Ambulanzen mit einem Plus-Zertifikat werden innerhalb der dreijährigen Gültigkeit des Zertifikates visitiert, um die Umsetzung der Kriterien zu begutachten. Das Visitationsteam besteht aus einem ärztlichen Gutachter, einem Patientenvertreter und der Koordinationsstelle und prüft in einem eintägigen Besuch vor Ort zertifizierungsrelevante Unterlagen und besichtigt die CF-Einrichtung.



# 20. Deutsche Mukoviszidose Tagung in Würzburg

Vom 16. bis zum 18. November 2017 diskutierten rund 800 Behandlerinnen und Behandler über Therapie und Behandlung von Mukoviszidose.

Die Tagung war erneut ein voller Erfolg. „Ich finde es großartig, dass 800 Behandler hier zusammengekommen sind – bei rund 8.000 Patienten in Deutschland“, sagte Stephan Kruij, Bundesvorsitzender des Mukoviszidose e.V. Dem Verein ist es ein großes Anliegen, mit der Veranstaltung die Fortbildung der an der Behandlung beteiligten Berufsgruppen zu fördern. Dementsprechend hatten die Tagungsleiter Dr. Christina Smaczny, Frankfurt, Dr. Olaf Eickmeier, Frankfurt, und Dr. Andreas Hector, Tübingen, ein buntes Programm zusammengestellt – von Grundlagenforschung, über klinische Forschung bis zur Anwendung am Patienten.

## Blick in das Programm

Ein Thema im Rahmen der Tagung waren beispielsweise Problemkeime jenseits des Pseudomonas. Dr. Barbara Kahl, Münster, Dr. Burkhard Tümmler, Hannover und Dr. Michael



Der Bundesvorsitzende des Mukoviszidose e.V., Stephan Kruij, begrüßte die rund 800 Teilnehmerinnen und Teilnehmer der Tagung.

Ein Video mit Eindrücken von der 20. DMT wird in Kürze auf unserem YouTube-Kanal zu finden sein.  
[www.youtube.com/user/mukoinfo](http://www.youtube.com/user/mukoinfo)

Hogarth, Frankfurt, warfen einen Blick auf die Keime, die bei Mukoviszidose außer Pseudomonas aeruginosa sonst noch eine Rolle spielen könnten. PD Dr. Jochen Mainz, Jena, wagte mit seinem Vortrag einen Blick in die Zukunft. Er sprach über neue Medikamente, die derzeit in der Entwicklung sind, und über die Genschere CRISPR/CAS9 und ihre mögliche Bedeu-



Leiteten die 20. Deutsche Mukoviszidose Tagung: Dr. Olaf Eickmeier, Dr. Christina Smaczny und Dr. Andreas Hector (v.l.n.r.).



Angelika Franke, Anna-Lena Strehlow und Ingrid Frömbgen im Tagungsbüro.



Daniela Hoppe aus dem Vorstand des Mukoviszidose e.V. sprach über Hygiene bei der Physiotherapie.



Beleuchtete die Physiotherapie bei Mukoviszidose aus ärztlicher Sicht: PD Dr. Thomas Nüßlein.



Wagte einen Blick in die Zukunft der CF-Behandlung: PD Dr. Jochen Mainz.



Stephanie Rosenberger präsentierte Daten zur Physiotherapie während der Gruppenklimamaßnahmen nach Gran Canaria.





Der Arbeitskreis Pflege präsentierte seine Arbeit auf der Tagung.

...tung für Mukoviszidose. Viele weitere Seminare, Workshops, Fortbildungen und Round-Table-Discussions sorgten für ein abwechslungsreiches Programm. Durch die CF-kompakt-Seminare bot die Tagung auch Neu- und Wiedereinsteigern einen Überblick über die Grundlagen der Erkrankung.



Gut gefüllter Vortrag im Panoramasaal.



Fortbildung zur Bewegungsmotivation für Patienten im fortgeschrittenen Stadium.

### Industrieausstellung

33 Aussteller hatten sich für die begleitende Industrieausstellung angemeldet. Besonders erfreulich war, dass in diesem Jahr zwei neue Aussteller mit dabei waren. Am Freitagabend hatten die Tagungsteilnehmer außerdem die Gelegenheit, beim Gesellschaftsabend im ungezwungenen Kreis zusammenzukommen und bei Live-Musik zu tanzen. „Ich bin zum ersten Mal auf so einer Tagung und bin total positiv überrascht. Es sind ganz, ganz spannende Beiträge, ich bin begeistert“, so eine Teilnehmerin zur 20. DMT. Die nächste Deutsche Mukoviszidose Tagung findet vom 22. bis 24. November 2018 in Würzburg statt.

Juliane Tiedt  
 Presse- und Öffentlichkeitsarbeit  
 Tel.: +49 (0) 228 98780-22  
 E-Mail: JTiedt@muko.info

**EIFELFANGO**  
 NEUENAHR

EIFELFANGO

QUALITÄT SEIT 1908

**ISOTONISCHE**  
 KOCHSALZLÖSUNG ZUR INHALATION®

[www.eifelfango.de](http://www.eifelfango.de)

## Bewährter Standard für die Atemwegstherapie

- pur und zur Verdünnung
- frei von Konservierungsstoffen
- in Kunststoffampullen ohne Weichmacher abgefüllt
- in der kostengünstigen 100 Ampullen Großpackung verfügbar
- ohne Alterslimit als Trägerlösung erstattungsfähig\*

\* nach Anlage 5 AMR; gemäß GBA erstattungsfähig als Trägerlösung bei der Verwendung von Inhalatoren in Verneblern/Aerosolgeräten, wenn der Zusatz einer Trägerlösung in der Fachinformation des Medikaments zwingend vorgesehen ist.



5 ml-Ampullen.  
 Erstattungsfähig als Trägerlösung!\*

EIFELFANGO Chem.-Pharm. Werk GmbH & Co. KG  
 Ringener Straße 45 · 53474 Bad Neuenahr-Ahrweiler

**Packungsgrößen**  
 20 x 5 ml (PZN 2295979)  
 40 x 5 ml (PZN 7027367)  
 60 x 5 ml (PZN 7027462)  
 100 x 5 ml (PZN 5450802)



# Weitere Eindrücke von der 20. DMT in Würzburg



Die Tagungsleiter Dr. Andreas Hector, Dr. Olaf Eickmeier und Dr. Christina Smaczny mit den Preisträgern Daniel Pfirrmann und Dr. Julia Hentschel (v.l.n.r.). Dr. Daniel Scholl fehlt im Bild.



Dr. Mirjam Stahl wurde mit dem Christiane Herzog-Förderpreis ausgezeichnet (mit Stephan Kruij, links, und Dr. h.c. Rolf Hacker, rechts, von der Christiane Herzog Stiftung).



Überzeugte mit einer Beat-Box-Einlage: Manuel Quinckardt von der Mukoviszidose Selbsthilfe Region Bremen e.V.



Begeistertes Publikum bei der Gesangseinlage.



Physiotherapeut Michael Renke bezauberte das Publikum mit seinem Gesang.



Eröffnete die Industrieausstellung: Dr. Katrin Cooper vom Mukoviszidose e.V.



33 Aussteller präsentierten sich auf der 20. DMT. Auch zwei neue Aussteller waren in diesem Jahr dabei.



Zahlenmeister für das Deutsche Mukoviszidose-Register: Manuel Burkart und Dr. Lutz Nährlich.



Susanne Deiters (links) informierte am Stand über das Projekt 60 des Mukoviszidose e.V.



Die Band Phoenix um Sängerin Steffi List heizte den Gästen auf dem Gesellschaftsabend ein.

## Wir danken unseren Hauptsponsoren des Vorprogramms:



## Wir danken unseren Hauptsponsoren des Hauptprogramms:



## Wir danken unseren Sponsoren des Hauptprogramms:



# Wunder wirken Wunder

## Empfehlung für ein Buch von Dr. med. Eckart von Hirschhausen

Welche Kraft haben positive und negative Gedanken? Wieso täuschen wir uns so gerne? Und wenn wir so viele Möglichkeiten haben, den Körper mit dem Geist zu beeinflussen – warum tun wir es so selten gezielt?

„Mit viel Humor zeigt Eckart von Hirschhausen, was jeder für sich tun und auch lassen kann. Ein versöhnliches Buch, das Orientierung gibt: Was ist heilsamer Zauber, und wo fängt gefährlicher Humbug an? Hirschhausen erzählt von seiner Reise durch das unübersichtliche Gebiet der Medizin und Alternativmedizin und verrät uns, wie wir gesünder durch ein krankes Gesundheitswesen kommen – mit dem Besten aus beiden Welten.“ So kündigt der Verlag das Buch an, und tatsächlich kann Hirschhausen unterhaltsam, lehrreich und witzig erzählen.

### Integrative Kraft

Die Stationen der Reise werden bereits auf der ersten Seite deutlich, auf der eine Karte abgebildet ist: Vom „Ursprung der Wunder“ geht es zu den „Klippen der Abzocke“, die in den „Markt der Möglichkeiten“ übergehen, gleich in der Nähe zum „Eiland der Evidenz“, um einige zu nennen. Das Buch hat integrative Kraft, denn einerseits hinterfragt es magische Erfahrungen kritisch und liefert zugehörige rationale Erklärungen, andererseits werden diese Erfahrungen aber nicht entwertet. Hirschhausen lässt die Tür zur Magie immer einen Spalt weit offen – er droht nicht mit Aufklärung, er macht Lust darauf.

### Humor und Wissenschaft

Hirschhausen schreibt wissenschaftlich fundiert, lockert den Text mit Anekdoten und witzigen, manchmal nachdenklich machenden Begebenheiten auf, gibt dabei viele kleine alltagstaugliche Tipps. Mit Humor führt er in wissenschaftliches Denken ein und erklärt, warum dieses Denken in der Medizin so wichtig ist. Dieses Buch ermuntert den Leser, sich selbst ein Bild zu machen, kritisch zu sein und den eigenen Kopf zu benutzen. Wenn es gut läuft, kann das Buch Leben retten, weil es Menschen davon überzeugt, auch eine konventionelle Therapie zu suchen.



**Eckart von Hirschhausen:**  
**Wunder wirken Wunder**  
Rowohlt (2016) 491 Seiten  
ISBN 978-3-498-09187-3  
ca. 19,95 Euro  
Preis ohne Gewähr

Wirklich großartig sind die Stellen im Buch, an denen Hirschhausen nicht nur über Mythen aufklärt, sondern anbietet, was man stattdessen tun kann, und dafür auch Belege hat. Wer sich auf dieses Buch einlässt, stärkt den eigenverantwortlichen Umgang mit der Erkrankung, und das soll ja die beste Medizin sein. Deshalb empfehle ich dieses Buch!

Stephan Kruij  
(52, CF)

# Basistherapie nicht vernachlässigen!

## Ärztliche Erfahrungen mit Therapie-Adhärenz unter Kalydeco und Orkambi

**muko.info hat sich bei Ärzten erkundigt: Wie ändert sich das Therapieverhalten von Patienten, die neue Medikamente erhalten? Wir geben wegen der ärztlichen Schweigepflicht die Antworten anonymisiert wieder, um keine Rückschlüsse auf die Patienten zu ermöglichen. Gemeinsamer Eindruck der Ärzte ist: Kalydeco (Ivacaftor) und Orkambi (Ivacaftor / Lumacaftor) ersetzen die Basistherapie nicht – wer sie weglässt, riskiert langfristige Verschlechterungen.**

„Meine Patientin hatte im Sommer unter Ivacaftor eine akute Verschlechterung (Exazerbation), die Lungenfunktion sank trotz konsequenter Therapie um 20 %. Auch Ivacaftor löst also offenbar nicht alle Probleme.“

„Meine fast 30-jährige berufstätige Patientin mit kleinem Kind führt ihre Therapien sehr konsequent durch: Nächtliche Zusatzernährung über PEG, Insulinpumpentherapie, Physiotherapie. Seit Herbst 2016 nimmt sie Orkambi und verträgt es gut, aber sie beobachtet bisher keinen Vorteil für Lungenfunktion, Gewicht oder Infekte. Trotz Orkambi hatte sie erneut eine schwere Verschlechterung, benötigte intravenöse Antibiotikatherapie (IV), und schon zwei Wochen nach IV hatte sie wieder Fieberschübe. Erst die komplette Entlastung von Beruf und Familie während der Rehabilitation führte dann zu reduzierten Entzündungszeichen, sie nahm über 5 kg zu und verbesserte ihre Lungenfunktion und Belastbarkeit.“

„Die Eltern meiner Patientin wollten unbedingt Ivacaftor für ihre Tochter, um die Basistherapie abzusetzen. Zwei Jahre

nach Beginn der Ivacaftor-Therapie verengten sich die Atemwege zunehmend, der Lung-Clearance-Index (LCI) stieg bedrohlich. Aus dem Schweißtest ließ sich ablesen, dass Ivacaftor regelmäßig eingenommen wurde. Dadurch ist zu befürchten, dass die Eltern trotz eingehender Warnungen die Inhalationen und Atemtherapie vernachlässigt haben, so dass der positive Effekt von Ivacaftor aufgehoben wurde. Ivacaftor alleine reicht nicht aus, um die Lungenfunktion stabil zu halten.“

„Meine Vollzeit-berufstätige 40-jährige Patientin hat pulmonale und gastrointestinale CF-Symptome, aber bisher keine schwerwiegenden Komplikationen, Pseudomonas nur vorübergehend, mehrmals atypische Mykobakterien. Ihr FEV<sub>1</sub> ist eingeschränkt (bei 65 %), aber stabil. Sie inhaliert, nimmt ihre Medikamente, aber sie macht zuhause keine Physiotherapie und keinen Sport. Seit Dezember 2016 nimmt sie Orkambi, die Lungenfunktion hat sich aber nicht verbessert. Erst in der Rehabilitation stieg die Lungenfunktion (FEV<sub>1</sub>) von 67 auf 78 %. Sie fühlt sich jetzt fitter und plant den regelmäßigen Besuch eines Fitnessstudios und möchte wieder Nordic Walking machen.“

„Mein 17-jähriger Patient mit eingeschränkter FEV<sub>1</sub> von 60 %, niedrigem Gewicht, CF-Diabetes und immer wieder allergischen bronchopulmonalen Aspergillus-Schüben war wenig therapiemotiviert, da er trotz vieler Anstrengungen keine Stabilisierung erreichen konnte. Nach Beginn mit Orkambi trat eine deutlich bessere körperliche Belastbarkeit ein, er konnte wieder ausreichend Sport

machen. Der Schweißtest zeigte eine Verbesserung und er meinte, nun mache die ganze Therapie wieder Sinn und war dadurch hochmotiviert, die Basistherapie wieder konsequent durchzuführen. Die Lungenfunktion besserte sich deutlich, er nahm ‚automatisch‘ an Gewicht zu und brauchte weniger Insulin. Insgesamt ist er glücklich, dass die Basistherapie wieder ‚greift‘.

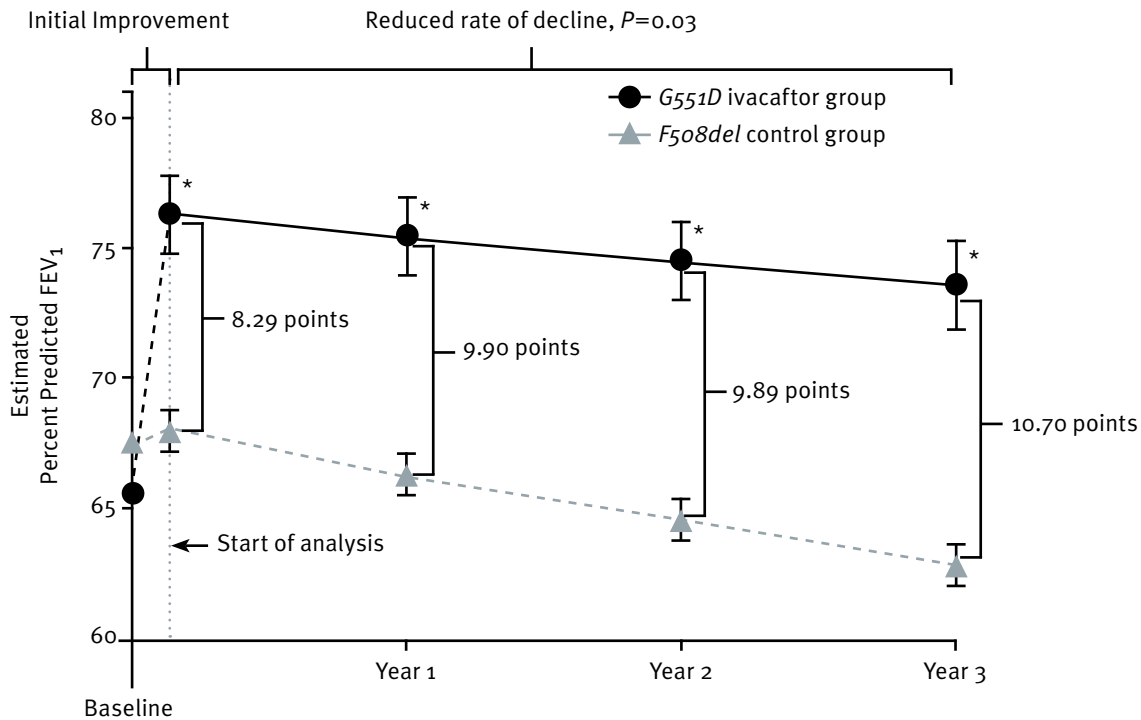
### Diese Berichte passen zu wissenschaftlichen Erkenntnissen

Die Grafik auf Seite 41 aus einer Vergleichsstudie<sup>1</sup> zeigt die Wirkung von Ivacaftor auf die Lungenfunktion (FEV<sub>1</sub>): Nach der deutlichen Anfangsverbesserung („initial improvement“) um 10,6 % durch Ivacaftor sinkt der FEV<sub>1</sub> über drei Jahre trotz Ivacaftor um 0,91 % pro Jahr (schwarze Kreise), verglichen mit 1,72 % in der Kontrollgruppe (graue Dreiecke).

Ivacaftor verlangsamt also das Absinken der Lungenfunktion, kann eine jährliche Verschlechterung aber trotz Fortführung der zeitaufwändigen symptomatischen Therapie nicht verhindern.

Ärzte betonen deshalb, dass Inhalationen, Autogene Drainage und Sport sowie die weitere Supportivtherapie (wie z.B. Enzyme und Vitamine) unter Kalydeco oder Orkambi keinesfalls vernachlässigt werden dürfen! Denn der Gewinn an Lungenfunktion nach Beginn einer Therapie mit Orkambi oder Kalydeco und die langsamere Verschlechterung der Lungenfunktion über die Jahre kann nur unter konsequenter Fortführung der herkömmlichen Therapie erreicht werden.





Estimated percentage predicted FEV<sub>1</sub> measures (±SE) at Years 1, 2, and 3. \* $P < 0.001$ .

Wirkung von Ivacaftor auf die Lungenfunktion (schwarze Kreise), verglichen mit Kontrollgruppe (graue Dreiecke).

Mit Beiträgen von Dr. Stefan Dewey (Strandklinik St. Peter-Ording), PD Dr. med. Anna-Maria Dittrich (CF-Ambulanz der MHH Hannover), Prof. Dr. Helge Hebestreit (Christiane-Herzog-Ambulanz Würzburg) und Dr. Silke van Koningsbruggen-Rietschel (Mukoviszidose-Zentrum Köln), zusammengestellt von Stephan Kruij

<sup>1</sup> Sawicki et. al. „Sustained Benefit from ivacaftor demonstrated by combining clinical trial and cystic fibrosis patient registry data.“ Am J Respir Crit Care Med. 2015 Oct 1;192(7):836-42. Abdruck mit Genehmigung der American Thoracic Society. Copyright © 2017 Das American Journal of Respiratory and Critical Care Medicine ist eine offizielle Zeitschrift der American Thoracic Society.

## Stark durch den Tag



erstattungsfähig

### EnergeaP<sup>Kid</sup> & EnergeaP

- ✓ Energieanreicherung in Pulverform
- ✓ flexibel und geschmacksneutral
- ✓ vollbilanziert gegen Mangelernährung



008000 - 9963829 (gebührenfreie Hotline aus A, D, NL)  
Fon +49 (0) 84 32 - 94 86 0 • eMail info@metax.org • Shop www.metax-shop.org  
metaX Institut für Diätetik GmbH • Am Strassbach 5 • 61169 Friedberg GERMANY

# Neuer Aufenthaltsraum in Rehaklinik Spendenprojekt aus Anlass eines Ultramarathons

Ingo Sparenberg ist vor zwei Jahren trotz seiner Mukoviszidose einen Ultramarathon über 60 km gelaufen (wir berichteten). Aus Anlass dieser sportlichen Extremleistung initiierte er ein Spendenprojekt, das nun erfolgreich abgeschlossen wurde.

Mit dem Spendengeld hat Ingo in der Rehabilitationsklinik St. Peter-Ording (natürlich in Abstimmung mit der Klinik) einen eigenen Aufenthaltsraum für Mukoviszidose-Patienten geschaffen, mit einer Sitzzecke eingerichtet und mit Fernseher, Blu-ray-Player, Musikanlage, Kickertisch und Gesellschaftsspielen optimal ausgestattet. Ingo zu seinem Spendenprojekt: „Damit konnte ich mein Versprechen an die vielen Spender einlösen, dass das Geld den Mukoviszidose-Patienten direkt zugutekommt. Der Lauf und die Spendenwerbung waren anstrengend. Aber für dieses Projekt hat sich der Aufwand gelohnt, denn gerade CF-Patienten profitieren vom entspannten Miteinander während der Rehabilitation.“ Ingo Sparenberg erreichen Sie unter [www.in-go-go-go.de](http://www.in-go-go-go.de)



Ein Blick in den neuen Aufenthaltsraum

Für die Redaktion: Stephan Kruip

## Buchvorstellung: Laufend Mukoviszidose, na und?! – UNKAPUTTBAR

### Teil 1:

Erst durch einen gesundheitlichen Einbruch wird dem Autor, Ingo Sparenberg, bewusst, dass er etwas tun muss, wenn er weiterhin ein qualitativ gutes Leben mit seiner Mukoviszidose-Erkrankung leben möchte. Aus seinem ersten Schritt erwächst ein großer Traum, der später Realität wird. Doch der Weg dorthin ist holprig und nur mit viel Disziplin zu meistern. Dem erfüllten Traum setzt er eines Tages noch eins drauf und beweist, was trotz seiner Erkrankung möglich ist. Den „Hatrick“ seiner Ziele fest im Blick, schlägt das Schicksal im Februar 2013 hart zu und lässt ihn gefühlt ins Bodenlose stürzen ...

### Teil 2:

Nach einem Jahr, an dem sich jeder Tag wie ein „Freitag, der 13.“ anfühlt, besinnt sich der Autor, der an Mukoviszidose erkrankt ist, eines Tages auf sich selbst und steht wieder auf. Mit extremem Ehrgeiz, Mut und viel Willensstärke sowie mentaler Kraft arbeitet er sich über Wochen, Monate, ja, Jahre hinauf auf einen „Olymp“, der fast unerreichbar schien. Damit gelingt ihm etwas Unglaubliches, Einzigartiges. Doch wie die Kurven des EKG geht es auch im Leben rauf und runter. Und so kann es nach dem Zenit nur ein „Runter“ geben. Mit dessen Tempo kann er sich allerdings überhaupt nicht anfreunden. Doch er erholt sich abermals



Teil 1 ab 15.11.2017  
Teil 2 ab 15.01.2018  
erhältlich unter  
[www.in-go-go-go.de/  
das-buch/](http://www.in-go-go-go.de/das-buch/)

und kommt wieder einmal, trotz mental schwerer Tage und Wochen, zurück.

Für die Redaktion: Thomas Malenke

# Wettspiele der Transplantierten

## Fabian Kreuzer gewinnt Bronzemedaille



Auf dem Siegetreppchen: Fabian Kreuzer (rechts, Platz 3)



Fabian Kreuzer (rechts) und Freunde in Malaga, Spanien

**Ich war immer sehr sportbegeistert und das entsprechende Training (in Kombination mit den klassischen Therapien) führten dazu, dass es mir bis kurz vor Ende meiner Schulzeit recht gut ging.**

Mein anschließendes Studium musste ich allerdings nach wenigen Monaten abbrechen. Mir war schon relativ früh klar, dass eine Transplantation (TX) für mich infrage kommt.

### Transplantation 2004

Der entscheidende Anruf kam im Juli 2004. Schon 50 Tage nach der TX konnte ich wieder einen Berg besteigen und ich genoss es, wieder ohne größere Probleme Sport machen zu können.

Seitdem bin ich Mitglied bei TRANSDIA e.V., einem Verein von Transplantations- und Dialysepatienten, der sich zum Ziel gesetzt hat, mit verschiedenen Sportveranstaltungen auf das Thema Organspende aufmerksam zu machen.

Neben den deutschen Meisterschaften und anderen nationalen Events, waren die „Wettspiele der Transplantierten“

2013 in Durban, Südafrika mein erster internationaler Wettkampf. Mit den Plätzen 12 und 5 war ich schon sehr zufrieden, da zum einen keine Unterschiede bzgl. des transplantierten Organs gemacht werden und ich zum anderen nach einer chronischen Abstoßung nur noch einen FEV<sub>1</sub> von ca. 40% habe.

### Bronze über 5.000 m

Die diesjährigen Wettspiele der Transplantierten fanden in Malaga statt. Es nahmen über 2.000 Sportler aus 52 Nationen teil. Die Eröffnungsfeier fand in der Stierkampfarena statt. Ohne die Möglichkeit zur Organspende wäre diese Arena an diesem Abend komplett leer gewesen. Insbesondere der Austausch und das Schließen neuer Freundschaften mit Transplantierten (Mukos) aus anderen Ländern machen die Spiele zu einem unvergesslichen Erlebnis.

Am letzten Wettkampftag stand das 5.000 Meter Bahngehen an. Völlig überraschend wurde ich nach einem Mexikaner und einem Franzosen Dritter. Dies bedeutete: Siegerehrung inklusive der Bronzemedaille; ein phänomenaler

Augenblick. In den Wochen nach den Spielen berichteten die lokalen Medien über meinen Erfolg. Seitdem werde ich auf meiner Laufstrecke regelmäßig von Personen angesprochen, auch auf das Thema Organspende. Eines der Ziele wurde also mit meiner Teilnahme an der WM schon erreicht.

Ich hoffe der Artikel kann weitere (transplantierte) Mukos für Sport begeistern. Auch wenn die Medaille natürlich ein persönliches Highlight war, gilt bei den Spielen vor allem das olympische Motto: Dabei sein ist alles...

Fabian Kreuzer



# Schlosserlebnistag

## Eine besondere Spendenaktion

Beim diesjährigen bundesweiten **SCHLOSS-ERLEBNISTAG** am 18. Juni wurde die Regionalgruppe Göppingen von den Eigentümern des Schlosses Weißenstein eingeladen, sich und die Arbeit des Mukoviszidose e.V. dort zu präsentieren.

Dazu kam die „Manufaktur Jörg Geiger“ aus Schlat, die neben ihren regionalen, edlen PriSecco- und anderen Tropfen auch die alkoholfreie Spenden-Edition „Engelsflügel“ vorstellte, von der pro verkaufter Flasche 50 Cent an unsere Regionalgruppe und damit den Mukoviszidose e.V. gehen. Von der ersten Charge wurden bereits 1.200 Euro überwiesen, die zweite ist aufgelegt und kann von allen Gruppen oder Personen direkt bestellt werden –

ein originelles und publikumswirksames Geschenk, zumal auf der Rückseite der Flasche eine kurze Erklärung zu Mukoviszidose und der Aktion zu lesen ist.

Mit dem Thema Wein öffnete Familie Kage die Tore ihres Schlosses. Der Schlosserlebnistag stand unter dem Motto „Microcolours – Genuss und Farbe“. Das Programm begann nach einer Begrüßung durch die junge Schlosherrin Ninja Kage mit einer Reise in die wunderschönen und farbigen Kristallwelten im Museum „KAGES MIKROVERSUM“ in einer Multimedia-Performance der Familie Kage über die Welt des Mikrokosmos. Anschließend kamen die Besucher in den Genuss der einzigartigen Produkte. Die Schlosseigentümer

Unbedingt mal reinschauen:

[www.kage-mikrofotografie.de](http://www.kage-mikrofotografie.de)  
und  
[www.manufakturjoerg-geiger.de](http://www.manufakturjoerg-geiger.de)



Verena Nägele (Sprecherin der Regionalgruppe Göppingen), Ninja Kage und Jörg Geiger

spendeten den gesamten Eintritt und die köstlichen Häppchen, Herr Geiger den Erlös aus der Verköstigung, und so können wir uns für eine außerordentlich gelungene Aktion und 970 Euro ganz herzlich bedanken.

Für die Regionalgruppe Göppingen  
Dr. Siegfried Obermann

# Mukoviszidose Selbsthilfe aus Sachsen-Anhalt spendet 100.000 Euro

Am 23.10.2017 übergab Daniel Kemp, Vorstandsvorsitzender des Mukoviszidose-Selbsthilfe e.V., in Leipzig die großzügige Spende an die Geschäftsführung des Mukoviszidose e.V. Die Gelder wurden über Jahre hinweg durch viele Aktionen und Veranstaltungen gesammelt und dienen zur Förderung eines Forschungsprojekts unter Leitung von Dr. Jobst Röhmel, Charité (Berlin) zum Thema „Allergische Reaktionen auf Medikamente – Entwicklung von Strategien zum Umgang mit Antibiotika Allergien in Diagnostik und Therapie“ – sowie zur Unterstützung des Benchmarking-Projekts des Mukoviszidose e.V.

Mit diesen Mitteln wird das „Lernen von den Besten“ unterstützt, d.h. durch den direkten Vergleich der Registerdaten aller beteiligten Mukoviszidose-Einrichtungen wird deutlich, in welchen Patienten-Versorgungsbereichen besondere Kompetenzen, aber auch Defizite vorherrschen. Die erreichten Ergebnisse und Maßnahmen zur Verbesserung der Versorgung werden bei regelmäßigen Treffen unter den Behandlern diskutiert.



Dabei ist die Suche nach der besten Strategie und der Wunsch, voneinander zu lernen, vorrangig. So kann eine Verbesserung der Versorgungsqualität direkt und zeitnah erreicht werden. Den Aktiven, Unterstützern und Spendern des Mukoviszidose Selbsthilfe e.V. aus Sachsen-Anhalt – und vor allem Daniel Kemp – gebührt ein ganz besonderes „Dankeschön“ für die großartige Unterstützung dieser wichtigen Projekte!

Winfried Klümpen

# Erster Christiane Herzog Tag in Aachen

## Kooperation von drei CF-Ambulanzen

Am 13. Mai 2017 fand im Luisenhospital in Aachen der erste Christiane Herzog Tag statt. Anlass war die offizielle Anerkennung der drei Standorte – Kinderarztpraxis Laurensberg, Kinderklinik der RWTH Aachen und Mukoviszidose-Ambulanz für Erwachsene im Luisenhospital – als Christiane Herzog Zentrum.

Seit 1975 behandelte Dr. Hiltrud Döhmen-Benning in der Kinderarztpraxis Laurensberg die ersten Mukoviszidose-Patienten. Mit der Zeit kamen immer mehr Patienten dazu und sie wurden älter. Der Wunsch nach einer Erwachsenenambulanz wuchs. So gab es bereits 1990 den ersten Kontakt zur Christiane Herzog Stiftung, wie Dr. Rolf Hacker, Vorsitzender der Stiftung, zu berichten wusste. Krankheit und Tod von Christiane Herzog führten damals jedoch zu einer Unterbrechung der Gespräche. 1998 wurde erstmals Kontakt zwischen der Kinderpraxis Laurensberg und dem Luisenhospital Aachen hergestellt. 2003 holten Prof. Dr. Berges vom Luisenhospital und Dr. Döhmen-Benning die Stiftung wieder ins Boot, die seitdem beim Aufbau der Erwachsenenambulanz involviert war.

Die Arbeit zwischen den drei Standorten und auch die Absprache mit Therapeuten in Aachen funktioniere schon lange sehr gut, betonte Dr. Steffen, Leiter der Mukoviszidoseambulanz im Luisenhospital in seiner Begrüßungsrede. Auch Prof. Dr. Wasmuth, Chefarzt der Inneren Klinik, betonte, wie wichtig dem Luisenhospital die Mukoviszidose-Patienten seien.

In seinem Vortrag „Transition – mehr als nur Übergang in die Erwachsenenmedizin“ zeigte Dipl.-Psych. Dr. Ullrich, dass der Grundstein für einen selbstorgani-

sierten, erwachsenen Patienten schon in der Kinderambulanz liegen müsse. Schon hier müsse sich die Verwandlung vom Objekt zum Subjekt vollziehen.

Prof. Dr. Tenbrock, Leiter der Mukoviszidose-Ambulanz der RWTH Aachen, stellte in seinem Vortrag „Vom CF-Screening über die Genetik bis zur personalisierten Medizin – aktuelle Entwicklung in der Mukoviszidose“ heraus, dass es bei Mukoviszidose immer schon um eine individuelle Behandlung gegangen sei, da die Symptomatik bei jedem Patienten anders aussehe. Nun gebe es aber dank der Fortschritte der Medizin auch immer mehr personalisierte Ansätze, die die unterschiedliche Genetik der Patienten beachte. Unter anderem ging Tenbrock auf die In-vitro-Testung von Medikamenten ein. Als besonders wichtig stellte er die internationale Zusammenarbeit der Forscher heraus. Im Anschluss an die wissenschaftlichen Vorträge und nach einer kleinen Stärkung gab es Workshops zu den Themen Physiotherapie, Hygiene und Ernährung.

### Festakt

Die offizielle Urkundenverleihung durch Dr. Markus Herzog und Dr. Rolf Hacker fand am am Abend im Rahmen einer festlichen Gala im Quellenhof in Aachen statt.

Wir als Mukoviszidose e.V. AACHEN freuen uns sehr über die gute Zusammenarbeit mit allen drei Standorten und gratulieren ganz herzlich zu dieser besonderen Auszeichnung.

[Eva Perchalla](#)  
[Mukoviszidose e.V. AACHEN](#)



Dr.h.c. Rolf Hacker  
1. Vorsitzender, Christiane Herzog Stiftung



Dr. Dirk Steffen  
Ärztliche Leitung Mukoviszidose-Ambulanz,  
Luisenhospital Aachen



Prof. Dr. Klaus Tenbrock  
Leitung Mukoviszidose-Ambulanz,  
Universitätsklinikum Aachen



Dipl.-Psych. Dr. Gerald Ullrich  
Gastredner; freier wissenschaftlicher  
Psychotherapeut, Schwerin

# Bonner Firmenlauf und Aktion „Deutschland wandert – Deutschland hilft“

## Zwei treue Kooperationen mit Herz

Unsere beiden langjährigen Kooperationen haben viel gemeinsam. Bewegung und Freude stehen im Mittelpunkt, Menschen mit Mukoviszidose liegen unseren Partnern besonders am Herzen und beide feiern in diesem Jahr ein „Schnapszahl-Jubiläum“.

### 11 Jahre Bonner Firmenlauf

Auch Regen und Sturm konnte die gute Laune beim diesjährigen Bonner Firmenlauf nicht trüben. Mit Kölscher Musik und guter Stimmung starteten am 14. September rund 11.900 Läufer bei dem traditionellen Firmenevent durch die Bonner Rheinaue.



Das Mukoviszidose-Team zeigt Flagge für die Betroffenen.

Auch unser Mukoviszidose-Team war wieder mit dabei, bestehend aus Betroffenen und deren Eltern, Unterstützern und Mitarbeitern. Die Anstrengung hat sich gelohnt: Rund 9.400 Euro kamen für unsere Projekte zusammen.



Bonner Firmenlauf: Die Läufer trotzten dem Regen mit guter Laune. (Foto: Weis Events GmbH)

### 22 Jahre Deutschland wandert – Deutschland hilft

Seit fast einem Vierteljahrhundert lädt der Deutsche Volkssportverband e.V. Wanderfreude in ganz Deutschland ein, für Menschen mit Mukoviszidose zu wandern. Rund 25 Wandervereine und tausende von Besuchern beteiligten sich in diesem Jahr rund um den 3. Oktober an der Aktion. Michaela May, Schauspielerinnen und Schirmherrin von „Deutschland wandert –

Deutschland hilft“, erwanderte gemeinsam mit dem Globetrotter Wanderclub München und zahlreichen Gästen den schönen Westpark in München. In diesem Jahr feiern die Wanderfreude noch ein ganz besonderes Ereignis: Der DVV wird die Schallmauer von 300.000 Euro Spenden für unsere Projekte durchbrechen.



Auf den Wandertagen informierten unsere Regionalgruppen über Mukoviszidose.



Michaela May (2.v.r.) wanderte durch den Münchner Westpark.



# laufen – zahlen – profitieren!

## Eine tolle Spendenidee der Einhorn-Apotheke

Ein Barntruper Unternehmen zeigt, wie Firmen und ihre Mitarbeiter mit sportlichem Einsatz und Teamgeist erfolgreich Spenden für unsere Projekte sammeln können.

### Als Team aktiv werden

„Laufen – zahlen – profitieren“, unter diesem Motto startete die Einhorn-Apotheke eine ganz besondere Spendenaktion.

Die Idee: Eine Mitarbeiterin läuft, der Chef zahlt und Menschen mit Mukoviszidose profitieren – denn die Spende fließt in wichtige Projekte des Mukoviszidose e.V. „Ich dachte an meine liebe Kollegin Inger, die an Mukoviszidose erkrankt ist. Und da kam mir die Idee für die Aktion“, sagte die Apotheken-Mitarbeiterin und Läuferin Anke Knorr.

Ihr Chef, Dr. Hans Wiegrebe, war von so viel sportlichem Einsatz begeistert und sofort bereit, jeden Kilometer mit einem Euro zu unterstützen. Anke Knorr lief

von April bis Mai insgesamt 236 Kilometer, ob als Trainingslauf oder bei einem Halbmarathon.

### „Auch unsere Kunden waren sofort zu einer Spende bereit“

Das Team stellte ihre Spendenaktion in der Apotheke und auf der Unternehmens-Facebook-Seite vor. Die Unterstützung war groß. Familie Erfkamp sagte spontan eine Spende von 300 Euro zu. Auch die aufgestellte Spendendose war schnell gut gefüllt. Insgesamt kamen auf diesem Weg 420 Euro zusammen.

### Eine tolle Idee für Ihr Unternehmens-Engagement

„Soziales Engagement ist meinem Team und mir eine Herzenssache. ‘Laufen – zahlen – profitieren’ gab uns als Unternehmen die Möglichkeit, uns gemeinsam zu engagieren und gleichzeitig auf die Krankheit Mukoviszidose sowie auch auf das wichtige Thema Organspende aufmerksam zu machen. Ich würde mich

freuen, wenn viele Unternehmen die Idee aufgreifen“, so Wiegrebe. Zum guten Schluss rundete Dr. Hans Wiegrebe den Betrag auf 1.000 Euro auf. „Für mich ist es ein großes Glück, in so einem tollen Team zu arbeiten, das mich mit so viel Einsatz unterstützt“, erzählte uns Inger Kühne, selber von Mukoviszidose betroffen.

Vielleicht möchten Sie die Idee aufgreifen und gemeinsam mit Ihrem Chef unsere Arbeit unterstützen?

Wir freuen uns drauf.

### Sprechen Sie mich gerne an

Torsten Weyel  
Unternehmen, Stiftungen,  
Wirtschaftlicher Geschäftsbetrieb  
Tel.: + 49 (0) 228 98780-26  
E-Mail: TWeyel@muko.info



Juliane Tiedt vom Mukoviszidose e.V. dankt dem Team der Einhorn-Apotheke: Anke Knorr, Inger Kühne und Dr. Hans Wiegrebe.



Die Läuferin Anke Knorr

# Große Solidarität mit CF-Betroffenen in der Region Neckar-Alb

## 9. DATAGROUP Bikers Day auch 2017 ein voller Erfolg

Der wolkenverhangene Himmel am Sonntagmorgen konnte die Radfahrer nicht abhalten, sich mit ihren Fahrrädern auf den Weg zum Firmenstandort des IT-Unternehmens DATAGROUP nach Pliezhausen zu machen, um beim neunten DATAGROUP Bikers Day ihre Solidarität mit unseren CF-Betroffenen zu zeigen.

### Attraktives Rahmenprogramm

Bereits zum gemeinsamen Start um 11:00 Uhr waren rund 250 Aktive gekommen und wurden von Schauspielerin und Mukoviszidose-Botschafterin Michaela May zusammen mit Stephan Kruip auf die beiden ausgeschilderten Radstrecken durch den Schönbuch geschickt.

Rund 400 Radler und ebenso viele Besucher tummelten sich auf dem Gelände und in dem markanten Rundbau von DATA-



Begeistert von so viel Engagement: Michaela May und Stephan Kruip (Foto: Tobias Grosshans)

GROUP und genossen den Tag bei Kaffee, Kuchen, schwäbischen Maultaschen und einem attraktiven Rahmenprogramm.

### Toller Spendenerfolg

Große Freude dann am Ende des Tages, als die Spendensumme feststand. Insgesamt 10.000 Euro konnten für die CF-Patienten gesammelt werden. Im

Namen aller Patienten und deren Angehörigen herzlichen Dank allen Teilnehmern, Gästen, Helfern und Sponsoren für ihr Engagement sowie Michaela May und Stephan Kruip für ihren Besuch bei unserer Veranstaltung.

[Torsten Weikert](#)  
Regionalgruppe Zollernalb-Tübingen

## Der neue Autoaufkleber Wir machen Mukoviszidose noch bekannter

### Sie haben ein Auto und noch Platz für einen Aufkleber?

Dann bestellen Sie unseren neuen Mukoviszidose-Autoaufkleber. Helfen Sie mit, die Krankheit bekannter zu machen. Der Aufkleber hat die Größe 13 x 6 cm. Es gibt eine Version in Blau und eine in Weiß. Bitte geben Sie Ihre Wunschfarben bei der Bestellung an. Bitte bestellen bei:

Mukoviszidose e.V.  
Aktionen und Events  
Anke Mattern  
Tel.: +49 (0) 228 98780-0  
E-Mail: [AMattern@muko.info](mailto:AMattern@muko.info)



Einen Aufkleber  
senden wir Ihnen  
gerne **kostenlos** zu.

# Schenken Sie uns Ihr Fest



## Es gibt viele Anlässe, ein Fest zu feiern.

Ob Geburtstag, Hochzeit, Firmenjubiläum, Tanzparty oder gemütliches Abendessen. Nutzen Sie Ihr Fest und setzen Sie ein Zeichen der Solidarität für Menschen mit Mukoviszidose. Indem Sie Ihre Gäste um Spenden statt Geschenke bitten, teilen Sie Ihre Freude über Ihren besonderen Tag nicht nur mit Freunden, Verwandten oder Kollegen. Sie unterstützen gemeinsam lebenswichtige Sozial- und Forschungsprojekte des Mukoviszidose e.V.



## Wir unterstützen Sie gerne bei der Umsetzung Ihrer Feierlichkeit.

Monika Bialluch  
Tel.: +49 (0) 228 98780-13  
E-Mail: MBialluch@muko.info



**MUKOVISZIDOSE** e.V.  
*Helfen. Forschen. Heilen.*

## I-neb: Das intelligente AAD-System speziell für CF-Patienten

- Passt sich dem patientenindividuellen Atemmuster bei jeder Inhalationssitzung erneut an
- Gewährleistet eine effiziente und wirtschaftliche Abgabe des Arzneimittels in die Lungen
- Speichert jede Inhalation für den Patienten damit dieser über eine zuverlässige Erfolgskontrolle verfügt





# Hauptamtlich ehrenamtlich

## Interview mit Evelyn Lill

Evelyn Lill (56) ist eine der Aktiven unseres Vereins, eine, die anpackt und bewegt, unterstützt und hinsieht, wo sie gebraucht wird. [muko.info](http://muko.info) hat mit ihr gesprochen:

**Evelyn, Du bist Mutter einer CF-Tochter, Lena (17). Was hat Dich bewegt, Dich im Mukoviszidose e.V. zu engagieren?**

Unsere Lena wurde im Alter von 5 Monaten diagnostiziert und ich nahm recht schnell Kontakt zur Regio Saar-Pfalz auf. Die Gruppe war damals schon sehr aktiv und veranstaltete u.a. Fortbildungen und Seminare für Eltern. Uns fehlte aber innerhalb der Gruppe ein Treffpunkt für Eltern mit kleinen Kindern.

**Und das hast Du organisiert?**

Ja, und unser „Stammtisch“ ist schnell gewachsen, manche Eltern kennen sich nun auch schon über Jahre hinweg und es ist ein schöner Freundeskreis entstanden.

**Das Konto der Regio Saar-Pfalz erhält regelmäßig Spenden, die Du „aufgetan“ hast: Wie geht das?**

Nun ja, für mich war die Selbsthilfearbeit im Mukoviszidose e.V. nichts wirklich Neues. Unsere große Tochter Susi (35) leidet an partieller Trisomie 15 (Anmerkung: weltweit leben nur 40 bis 60 Patienten mit dieser Erkrankung). Da war ich gefordert, hatte mein Studium der Architektur abgebrochen, um ganz für sie da zu sein. Seit 1987 war ich ehrenamtlich in den verschiedenen Gremien wie Vorschulausschuss, Schulsprecherin und Vorstand im Förderverein tätig und habe schon in diesen Funktionen erlebt, dass überall Spendengelder gebraucht werden.

Kontakte zu knüpfen, fällt mir leicht und wenn man dann als zuverlässig bekannt ist, öffnen sich die Türen. Seit 2009 habe ich mein Engagement mehr zum Mukoviszidose e.V. hin verlagert.



Evelyn Lill mit Tochter Lena

**Persönliche Kontakte sind also wichtig?**

Ja, natürlich. Bei uns im Saarland kennt „jeder einen, der einen kennt“... und das Wichtigste ist dann, unsere Spender auch zu betreuen. Es funktioniert nicht, eine Spende anzufragen und dann nicht zur Übergabe zu gehen. Man muss Verbindung aufbauen, dem Spender zeigen, wie wichtig er für uns ist und ein ehrliches Dankeschön rüberbringen. Ein Kärtchen an Weihnachten z.B. gehört auch dazu. Dafür sorgt unsere auch sehr aktive „Buchführerin“ Rosi Kiefer.

**In Homburg gibt es ja leider seit der Pensionierung von Prof. Dr. Gerd Dockter keinen expliziten Ambulanzleiter mehr. Wie geht die Regio damit um?**

Zunächst einmal: Unsere Kinder werden in Homburg weiterhin gut betreut, wir haben junge Ärztinnen und Ärzte, die sich mit Mukoviszidose auskennen und Kontakte zu anderen Kliniken halten für besondere Fragen. Aber wir versuchen natürlich, zusammen mit der Klinikleitung, einen spezialisierten Oberarzt für die Mukoviszidose-Ambulanz zu gewinnen. Das Saarland ist schön, das wissen die meisten gar nicht!

**Und es hat eine sehr aktive Regionalgruppe! Danke für das große Engagement und: Weiter so!**

Mit Evelyn Lill sprach Susi Pfeiffer-Auler,  
Redaktionsleitung [muko.info](http://muko.info).



# TEVA IST DABEI

AUCH IM BEREICH MUKOVISZIDOSE ARBEITEN WIR MIT GROSSEM EHRGEIZ FÜR MEHR LEBENSFREUDE.

TEVA

Atemwege



# Kreon® gehört dazu!

Je nach Bedarf<sup>1,3</sup>. Direkt zur Mahlzeit<sup>2</sup>.



Essen steht im Ofen.  
**Kreon**  
nicht vergessen!

**Kreon**

<sup>1</sup> Lühr JM et al. Exokrine Pankreasinsuffizienz, UNI-MED 2006, S. 29-32; <sup>2</sup> Dominguez Munoz JE; „Pancreatic exocrine insufficiency: Diagnosis and Treatment.“ Journal of Gastroenterology and Hepatology 26 (2011) Suppl. 2; 12-16; <sup>3</sup> Layer P, Lühr JM, Ockenga J. Exokrine Pankreasinsuffizienz optimal behandeln. Der Bay. Int. 26 (2006) Nr. 6

Abbott Laboratories GmbH, Freundallee 9A, 30173 Hannover, Mitvertrieb: Mylan Healthcare GmbH

**Kreon® 10 000 Kapseln / Kreon® 25 000 / Kreon® 40 000 / Kreon® für Kinder**

**Wirkstoff:** Pankreas-Pulver vom Schwein mit Amylase-/Lipase-/Protease-Aktivität; **Zusammensetzung:** Jeweils eine Hartkapsel mit magensaftresistenten Pellets enthält: Kreon® 10 000 Kapseln: 150 mg Pankreas-Pulver, hergestellt aus Pankreasgewebe vom Schwein, entsprechend lipolytische Aktivität: 10 000 Ph.Eur.E\*, amylolytische Aktivität: 8 000 Ph.Eur.E\*, proteolytische Aktivität: 600 Ph.Eur.E\*. Kreon® 25 000: 300 mg Pankreas-Pulver, hergestellt aus Pankreasgewebe vom Schwein, entsprechend lipolytische Aktivität: 25 000 Ph.Eur.E\*, amylolytische Aktivität: 18 000 Ph.Eur.E\*, proteolytische Aktivität: 1 000 Ph.Eur.E\*. Kreon® 40 000: 400 mg Pankreas-Pulver, hergestellt aus Pankreasgewebe vom Schwein, entsprechend lipolytische Aktivität: 40 000 Ph.Eur.E\*, amylolytische Aktivität: 25 000 Ph.Eur.E\*, proteolytische Aktivität: 1 600 Ph.Eur.E\*. Kreon® für Kinder: Eine Messlöffelfüllung (100 mg) mit magensaftresistenten Pellets enthält 60,12 mg Pankreas-Pulver, hergestellt aus Pankreasgewebe vom Schwein, entsprechend lipolytische Aktivität: 5 000 Ph. Eur.E\*, amylolytische Aktivität: 3 600 Ph. Eur.E\*, proteolytische Aktivität: 200 Ph. Eur.E\*. \*(Aktivitäten in Ph. Eur.-Einheiten). **Sonstige Bestandteile:** Pellets: Cetylalkohol, Triethylcitrat, Dimeticon 1000, Macrogol 4000, Hypromellosephthalat. Die Kapseln enthalten zusätzlich: Gelatine, Natriumdodecylsulfat, Titandioxid, Eisen(III)-oxid, Eisen(III)-hydroxid-oxid x H<sub>2</sub>O, Eisen(II,III)-oxid. **Anwendungsgebiete:** Verdauungsstörungen infolge ungenügender oder fehlender Funktion der Bauchspeicheldrüse (exokrine Pankreasinsuffizienz), Mukoviszidose zur Unterstützung der ungenügenden Funktion der Bauchspeicheldrüse. **Gegenanzeigen:** Nachgewiesene Überempfindlichkeit gegen Schweinefleisch (Schweinefleischallergie) oder einen anderen Bestandteil von Kreon®. **Nebenwirkungen:** Sehr häufig: Bauchschmerzen; Häufig: Verstopfung, Stuhlanomalien, Durchfall und Übelkeit/Erbrechen; Gelegentlich: Ausschlag; Häufigkeit nicht bekannt: Allergische Reaktionen vom Soforttyp (wie z. B. Hautausschlag, Juckreiz, Niesen, Tränenfluss, Atemnot durch einen Bronchialkrampf, geschwollene Lippen). Bei Patienten mit Mukoviszidose, einer angeborenen Stoffwechselstörung, ist in Einzelfällen nach Gabe hoher Dosen von Pankreasenzymen die Bildung von Verengungen der Krummdarm / Blinddarmregion und des aufsteigenden Dickdarmes beschrieben worden. Diese Verengungen können unter Umständen zu einem Darmverschluss. Bei Kreon® sind diese Darmschädigungen bisher nicht beschrieben worden. **Stand: 04/2015**

Zu Risiken und Nebenwirkungen lesen Sie die Packungsbeilage und fragen Sie Ihren Arzt oder Apotheker.

Mylan Healthcare GmbH

Freundallee 9A · 30173 Hannover · Telefon: 0511 6750-2400 · e-mail: mylan.healthcare@mylan.com · Internet: www.kreon.de

 **Mylan Healthcare GmbH**  
Seeing is believing