

Ataluren: Elf Jahre nutzlos auf dem Markt

Warum die Zulassung von Medikamenten verschärft werden muss

Ataluren, ein Medikament gegen Duchenne-Muskeldystrophie, wurde in der EU 2014 auf Basis extrem dürftiger Daten zugelassen. Erst im Frühjahr 2025 zog die Zulassungsbehörde EMA wegen Unwirksamkeit des Mittels die Notbremse. Drei Wissenschaftler*innen aus Pamplona (Spanien) haben analysiert, was schiefgelaufen ist.¹

Bei der genetisch bedingten Duchenne-Muskeldystrophie ist die Bildung des Muskelstrukturproteins Dystrophin, das die Muskelzellen stabilisiert, gestört. Die Muskelschwäche schränkt die Bewegungsfähigkeit zunehmend ein und verkürzt die Lebenserwartung stark. Eine Behandlung der Ursache gibt es nicht, nur die Symptome können gelindert bzw. herausgezögert werden. Betroffen sind fast ausschließlich Jungen.

Bei 13% der Patienten liegt eine Nonsense-Mutation im Dystrophin-Gen vor. Dadurch bekommt das Gen ein vorzeitiges Stoppsignal und es wird kein funktionierendes Dystrophin-Protein gebildet. Auf diese Störung zielte Ataluren ab, allerdings verbesserte sich die Dystrophin-Produktion durch den Wirkstoff nur geringfügig.

Für die Zulassung wurde eine vergleichende Studie vorgelegt, doch in keinem der Hauptziele konnte ein Vorteil gegenüber Placebo gezeigt werden. Lediglich in einer nachträglichen Auswertung deutete sich an, dass Jungen, die zu Beginn der Studie innerhalb von sechs Minuten noch mindestens 150m laufen

LIEBE LESERIN, LIEBER LESER,

manchmal muss man sich wundern, wie nachsichtig die Arzneimittel-Zulassungsbehörden sind. Es war schon schwer verständlich, warum die EMA Ataluren angesichts des Fehlens überzeugender Belege eines Nutzens überhaupt zugelassen hat. Aber dann bekommt der Hersteller wieder und wieder die Gelegenheit, noch eine Studie oder neue Auswertung vorzulegen. Elf Jahre dauerte das Trauerspiel zu Lasten der mit leeren Versprechen hingehaltenen Patienten (siehe links).

Als ich von dem Tiermedikament hörte, das auch bei Menschen gegen Würmer wirkt (S. 8), hatte ich ein Déjà vué. Vor 41 Jahren kritisierten wir Merck dafür, dass die Firma ein mit öffentlicher Forschungsunterstützung umgewidmetes Tiermedikament gegen Schistosomiasis viel zu teuer verkaufte. Wir drehten damals einen Werbespruch des Industrieverbands BPI um: „Ein Menschenleben ist teuer. Medikamente sind oft unbezahlbar.“ Leider stimmt das bis heute noch allzu oft.

Ihr



Jörg Schaaber



konnten, eventuell von Ataluren profitieren könnten. Diese Hoffnung reichte der EMA 2014 – nach einer anfänglichen Ablehnung im Januar – im zweiten Anlauf aus, im Mai 2014 eine bedingte Zulassung zu empfehlen. Als Auflage musste der Hersteller eine weitere Studie durchführen. Aber auch diese zeigte keine Vorteile für Ataluren. Die Studienautor*innen spekulierten nun, dass Patienten mit einer sechs Minuten Gehstrecke von 300-400 m profitieren könnten. Obwohl es lediglich kleine „numerische“ Vorteile, aber keine statistisch signifikanten Unterschiede gab, wurde Anfang 2017 eine Verlängerung der Zulassung erteilt. Als Auflage musste erneut eine weitere Studie durchgeführt werden.

Sozialer Druck in Spanien

Angesichts der negativen Daten veröffentlichte das spanische Gesundheitsministerium 2017 ein Positionspapier, das eine Finanzierung von Ataluren ablehnt. Aber die meisten Regionen Spaniens ignorieren das und importieren den Wirkstoff auf eigene Rechnung. Dazu trug auch erheblicher sozialer Druck bei: Duchenne-Patienten besuchten mit ihren Angehörigen den Präsidenten des spanischen Senats, nahmen an TV-Shows teil und spannten Promis für sich ein. Es gab auch Demonstrationen mit der Forderung, Ataluren den Patienten zur Verfügung zu stellen.

Noch eine Studie mit negativen Ergebnissen

Die dritte Studie startete im Juli 2017. Ein Jahr später wird das primäre Untersuchungsziel nachträglich geändert, ein bei einer bereits laufenden Studie umstrittenes Vorgehen. Erst im Juli 2023 ist die Studie beendet. Im September 2023 empfiehlt die EMA auf Basis dieser neuen Daten, die Zulassung wegen Unwirksamkeit nicht zu verlängern. Der Hersteller verlangt eine erneute Bewertung, die EMA bekräftigt im Januar 2024 ihre negative Entscheidung. Damit wäre das Verfahren eigentlich abgeschlossen.

In einem ungewöhnlichen Schritt fordert die EU-Kommission im Mai 2024 die EMA auf, erneut zu beraten, denn die Beschlüsse der Behörde vom September 2023 und Januar 2024 seien ungültig. Als Argument nutzt die Kommission ein Urteil des Europäischen Gerichtshofs vom 14. März 2024 zu einem anderen Medikament. Das Gericht erachtete Interessenkonflikte in einer wissenschaftlichen Beratungsgruppe der EMA (WBG) als problematisch.² Deshalb muss der Bewertungsprozess für Ataluren mit einer neuen WBG erneut gestartet werden – ein weiterer Zeitgewinn für den Hersteller.

Im Juni 2024 entscheidet die EMA auf Basis derselben Daten erneut gegen Ataluren, der Hersteller verlangt eine Neubewertung. Im Oktober 2024 gibt es die vierte und letzte Entscheidung der EMA, sie lehnt die Verlängerung der Zulassung endgültig ab, am 28. März 2025 erlischt die Zulassung.

Elf Jahre lang wurden Patienten mit einem unwirksamen Medikament behandelt. Geschätzte Kosten: 200.000 € pro Person und Jahr. Bei allen Schwierigkeiten, Studien für seltene Erkrankungen durchzuführen, darf die Wissenschaft nicht auf der Strecke bleiben. Zulassungsentscheidungen sollten sich niemals an schwachen Daten, „vielversprechenden Resultaten“ oder Hoffnungen orientieren, gefragt sind solide wissenschaftliche Fakten. Die EMA hatte zu Beginn selbst Bedenken, dass die frühe Zulassung die weitere Evidenzgenerierung gefährden könnte.

Unverständlich bleibt, warum sich die Behörde so lange hat hinhalten lassen. Klare Auflagen und (kurze) Fristen für bestätigende Studien sind notwendig. Die Koppelung der Erstattung des neuen Arzneimittels an die Teilnahme an einer Registerstudie könnte zudem weitere Erkenntnisse bringen.

Duchenne-Muskelatrophie ist eine schwere Erkrankung. Falsche Hoffnung auf Wirkung nützt keinem Patienten. Nicht zuletzt bedeuten leichtfertige Zulassungen auch einen fehlenden Anreiz, weitere Wirkstoffe zu entwickeln, die den Betroffenen wirklich helfen. (JS)

USA-EUROPA: UNEINHEITLICHE ENTSCHEIDUNGEN

Im Gegensatz zur EMA lehnte US-Behörde FDA eine Zulassung von Ataluren 2016 ab.³ Paradoxerweise hatte die FDA kurz zuvor mit Eteplirsen ein anderes Duchenne-Medikament mit noch schwächerer Evidenz durchgewunken: Die Verbesserung der motorischen Fähigkeiten wurde nicht geprüft. Für die Zulassung reichte eine geringe Zunahme des Dystrophins um 0,2%-0,3% des Wertes von Gesunden. Die Entscheidung fiel übrigens gegen das ablehnende Votum der Expert*innen⁴ und mit einer geschickten Instrumentalisierung von Betroffenen durch den Hersteller.⁵ Das in den USA bis heute erhältliche Eteplirsen fand dagegen bei der EMA 2018 keine Gnade.⁶

1 Erviti J et al. (2025) Ataluren for Duchenne: how politics and social pressure undermined evidence-based decisions. BMJ EBM, <https://doi.org/10.1136/bmjebm-2025-113995>

2 CURIA (2024) Rechtssache C-291/22 P https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/SUM/?uri=CELEX:62022CJ0291_RES

3 Pagliarulo N (2016) FDA snubs PTC appeal for Duchenne drug. Biopharmadive, 17 Oct www.biopharmadive.com/news/fda-snubs-ptc-appeal-for-duchenne-drug/428417 [Zugriff 15.1.2026]

4 Pharma-Brief (2016) Wenig, weniger, keine Evidenz? Nr. 9-10, S. 2

5 Pharma-Brief (2017) Eteplirsen: Inszenierte Patienten. Nr. 4, S. 8

6 EMA (2018) EPAR Exondys <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/exondys> [Zugriff 15.1.2026]

GLOBALE GESUNDHEIT: EINSATZ IN STÜRMISCHEN ZEITEN

Jahresrückblick 2025 der Pharma-Kampagne

Hinter uns liegt ein turbulentes Jahr für die globale Gesundheit. Es begann schon damit, dass der US-Präsident den Ausstieg der USA aus der WHO ankündigte – mit verheerenden Folgen für die öffentliche Gesundheit. Doch auch in der deutschen Politik wird die Luft dünner: Unter der neuen Bundesregierung gibt es keinen Unterausschuss Globale Gesundheit mehr. Genau deshalb ist es uns wichtig, diese Themen weiter in der Bevölkerung und der Politik zu verbreiten. Unter anderem konnten wir folgendes im vergangenen Jahr erreichen.

Vernachlässigte Tropenkrankheiten (NTD)

Die Problematiken im Zusammenhang mit dem Thema NTD, wie die unzureichende Finanzierung von Forschung und Versorgung, tourten mit der Pharma-Kampagne 2025 durch ganz Deutschland. In Zusammenarbeit mit verschiedensten Partnerorganisationen fanden Vorträge von Nürnberg bis Hamburg statt und erreichten ein breites Publikum. Darüber hinaus erstellten wir den politischen Handlungsleitfaden „Dengue ante portas: Impulse für die deutsche Politik zu NTDs“ und richteten im November ein digitales Parlamentarisches Frühstück zu diesem Thema aus. Unter der Schirmherrinnenschaft von MdB Dr. Kirsten Kappert-Gonther (Bündnis 90/Die Grünen) gab es u.a. spannende Expert*innenvorträge zu Leishmaniose und Vergiftungen durch Schlangenbisse. Im Jahr 2025 endete die Projektlaufzeit, doch mit dem Thema Zoonosen startet direkt ein Anschlussprojekt.



Zoonosen

Neben umfangreichen Recherchen markierte vor allem das 1. Fachtreffen im Juli den Start des Projekts. Neben der inhaltlichen Schwerpunktsetzung diskutierten wir in Bielefeld mit externen Expert*innen die für 2026 geplante Podcast-Reihe, für die schon erste Kontakte geknüpft werden konnten. Auch zwei Vorträge für Mediziner*innen fanden bereits statt. Wie aktuell das Thema ist, zeigten die Herausforderungen, vor denen viele afrikanische Staaten durch Mpox standen oder die auch in Deutschland wieder aufflammende Debatte rund um die Vogelgrippe.

Arzneimittel und Umwelt

Im Sommer und Herbst tourte unsere Wanderausstellung zum Projektthema durch NRW. Auf Messen, an Pflege- und Volkshochschulen sowie an anderen Orten lenkten wir so die Aufmerksamkeit auf die Gefahren, die durch Arzneimittel in der Umwelt entstehen. Über 400 Arzneimittel und ihre Abbaustoffe wurden bereits in Deutschland in der Umwelt nachgewiesen – sie beeinflussen Ökosysteme und stellen so auch für uns Menschen ein Risiko dar. In Kooperation mit der Apothekerkammer Westfalen-Lippe veranstalteten wir zwei Online-Fortbildungen für Pharmazeut*innen und PTA, die den Teilnehmenden neben Informationen auch Handlungsoptionen für ihren Arbeitsalltag an die Hand gaben. Außerdem veröffentlichten wir im September einen politischen Handlungsleitfaden. Den Abschluss des Projekts bildete im Oktober eine Konferenz mit spannenden Vorträgen von Gerd Maack vom Umweltbundesamt, Rodrigo Vidaurre vom Ecologic Institut und Robin Gundert von der Universität Freiburg. Die Teilnehmenden aus den unterschiedlichsten Professionen lobten den gemeinsamen Austausch und den gelungenen Anlass zur Vernetzung.



Nicht übertragbare Krankheiten (NCDs)

Nach intensiver Rechercharbeit konnten wir im Juni die Fachbroschüre „Nicht übertragbare Krankheiten - Die stille Epidemie“ veröffentlichen. Besonders im Globalen Süden sind mehr und mehr Menschen von NCDs betroffen, gleichzeitig ist dort oft der Zugang zu Behandlung und Medikamenten erschwert. Durch Präventionsmaßnahmen wären viele Erkrankungen und Todesfälle verhinderbar. Mit drei Organisationen, die sich international für die Prävention und Behandlung von NCDs einsetzen, haben wir Interviews geführt und diese in unsere Fachbroschüre einfließen lassen. Im weiteren Projektverlauf verwenden wir sie zusätzlich für die Erstellung von einem Online Escape-Game und Podcasts.

Fortsetzung S. 4



Märchenhaftes Straßentheater

Unsere Theatergruppe „Schluck & weg“ trat in diesem Jahr ebenfalls zum Thema NCDs auf. An elf Auftrittsorten fieberten fast 2500 Zuschauende mit, wie Rotkäppchen mit der Hilfe des tapferen Schneidersleins und eines lungenkranken Froschkönigs versuchte, die Diabetesmedikamente für ihre Großmutter von der goldgierigen Pharma-Königin zu bekommen.

Abschied vom Memento-Bündnis

Die Arbeit im Memento-Bündnis sah dieses Jahr anders aus. Im Oktober veranstalteten wir im Jakob-Kaiser-Haus mit Blick auf den Bundestag ein Parlamentarisches Frühstück, dann gaben wir mit den anderen Bündnisorganisationen im November in der Hörsaalruine des Berliner Medizinhistorischen Museums das Ende des Memento-Bündnisses bekannt. Viele Wegbegleiter*innen verbrachten mit uns den Abend zum Thema „Jetzt ist Zeit zu handeln – Gemeinsam gegen vernachlässigte Tropenkrankheiten“. Die vier Organisationen werden weiterhin daran arbeiten, vernachlässigte Krankheiten auf die politische Agenda zu setzen und betroffenen Menschen eine Stimme zu geben.

Vielseitig vernetzt

Internationalen Austausch genossen wir bei der Generalversammlung der International Society of Drug Bulletins (ISDB) in Verona. Mit den Vertreter*innen aus bei-

spielsweise Uruguay, den USA, Moldau, Ecuador, Frankreich und Kanada vereint uns das Ziel, verlässliche und unabhängige Informationen über Arzneimittel und Therapien bereitzustellen, frei von Interessenkonflikten.

Zudem konnten wir Anfang des Jahres nach unzähligen Arbeitsstunden endlich unsere neu gestaltete Website launchen (Schauen Sie gern mal vorbei unter www.bukopharma.de). Außerdem wurden all unsere Aktivitäten von Social-Media-Arbeit begleitet, bei der uns auch unsere wechselnden Praktikant*innen unterstützten. Wir veröffentlichten sieben Pharmabriefe und sogar drei Pharma-Brief Spezial, darunter die politischen Leitfäden zu Vernachlässigten Tropenkrankheiten und Arzneimitteln in der Umwelt sowie die Fachbroschüre zu nichtübertragbaren Krankheiten im Globalen Süden. Doch neben allen Erfolgen musste sich auch die Pharma-Kampagne im vergangenen Jahr großen Herausforderungen stellen, unter anderem anhaltenden finanziellen Unsicherheiten und dem Abschied von geschätzten Kolleginnen.

Wir bedanken uns bei allen, die unsere Arbeit so vielfältig unterstützen, Beiträge teilen, sich mit uns bei Veranstaltungen austauschen und spenden! Danke, dass Sie auch in rauer See mit uns für eine gerechte globale Gesundheit im Boot sitzen. (HO)



MALARIA: FORTSCHRITT STOCKT

WHO-Report sieht kritische Entwicklungen

Die globale Malaria-Bekämpfung konnte in den vergangenen Jahren trotz Rückschlägen durch die Covid-19-Pandemie Erfolge verzeichnen. Doch der jüngste Welt-Malaria-Bericht nennt große Risiken für die Zukunft, darunter die 2025 eskalierten finanziellen Kürzungen wichtiger Fördernationen (wir berichteten¹) sowie die schleichende Resistenzentwicklung.

Laut WHO-Schätzungen wurden 2024 170 Millionen Malariafälle verhindert, gleichzeitig starben immer noch über 600.000 Menschen an der Infektion.² Über 90% der Erkrankungen und Todesfälle treten in der WHO Region Afrika auf, besonders hoch ist die Sterblichkeit bei Kindern unter fünf Jahren.

Medizinischer Wettlauf

Resistenzen sind in der Malaria-Bekämpfung generell kein neues Phänomen, sondern ständige Begleiter. So waren die in den 1950ern begonnenen WHO-Programme zunächst erfolgreich. „Doch in den 70er Jahren wendete sich das Blatt: [Das Pestizid] DDT hatte aufgrund der großflächigen Anwendung (auch in der Landwirtschaft) seine Wirksamkeit eingebüßt. Zugleich wurden die Malariaerreger zunehmend resistent gegen Chloroquin.“³ Der kostengünstige Wirkstoff war lange das Rückgrat von Behandlung und Vorbeugung, doch wurde dieses Werkzeug im Laufe der Zeit stumpf – mit dramatischen Folgen, vor allem bei der Kindersterblichkeit. An seinen Platz trat zwischen durch Sulfadoxin-Pyrimethamin, jedoch bildeten sich hier sogar noch rascher Resistenzen, längerfristige Hoffnung ruhte schließlich auf Artemisinin. Es findet seit der Jahrtausendwende in Kombinationstherapien breite Anwendung. Vor allem in der Behandlung unkomplizierter Verläufe markierten sie einen Wendepunkt. Doch zunächst aus Ostasien, zuletzt allerdings auch dem östlichen und südlichen Afrika kamen Berichte über Probleme bei der Wirksamkeit.

Gut kombiniert - oder?

Resistenzen gegen Artemisinin sind bislang glücklicherweise partiell, beschrieben



wird dies mit dem Kürzel ART-R (Artemisinin partial resistance). Im Gegensatz zu z.B. Chloroquin werden Therapien daher nicht plötzlich komplett unwirksam. Wenn allerdings ART-R vorliegt, müssen die Begleitmedikamente in den Kombinationstherapien eine größere Anzahl von Malaria-Parasiten bekämpfen. Damit erhöht sich die Wahrscheinlichkeit der Resistenzbildung gegen solche ergänzenden Präparate.

Der WHO-Bericht 2025 macht deutlich, dass diese Entwicklung die Folge verflochtener biologischer, ökologischer und sozialer Dynamiken ist. „Parasitenmutationen, Übertragungsintensität, Immunität der Bevölkerung und Vektordynamik wirken zusammen mit den realen Bedingungen in Gesundheitssystemen: wie Menschen medizinische Versorgung in Anspruch nehmen, ob sie eine bestätigte Diagnose erhalten, wie die Qualität der verfügbaren Medikamente ist und wie hoch die Therapietreue.“ Verbesserte Surveillance sei daher zentral, so die WHO, außerdem eine rationale Versorgung auch im privaten

Sektor, da hier ein Großteil der Malaria-Patient*innen vorstellig wird.

Malaria als Zoonose

Wie in den zurückliegenden Jahren blickt die WHO in ihrer Analyse globaler Trends auch kurz auf einen zoonotischen „Spezialfall“. *Plasmodium knowlesi* ist eine Variante des Malariaparasiten, die primär in Südostasien auftritt und dort Affen als Reservoir nutzt. Die Übertragung auf den Menschen erfolgt wie gewohnt über Mücken. Bislang geschieht sie offenbar weiterhin vergleichsweise selten, für 2024 wurden weniger als 2.200 Infektionen gemeldet, primär in Malaysia. Zugleich scheinen sich Erkrankungen durch *Plasmodium knowlesi* in der Region zu verbreiten. (MK)

- 1 Pharma-Brief (2025) Entwicklungshilfe: „Diese Kürzungen sind keine abstrakten Zahlen.“ Nr. 7-8, S. 6
- 2 WHO (2025) World malaria report 2025: Addressing the threat of antimalarial drug resistance. Genf
- 3 Pharma-Brief (2010) Malaria: Vom Oberrhein bis in die Tropen. Spezial Nr. 2



WAS KOSTET ÜBERGEWICHT WIRKLICH?

Wie falsche Zahlen in den Niederlanden Interessen bedienen

79 Milliarden Euro – so teuer soll Übergewicht sein. Doch eine investigative Recherche zeigt, dass diese Zahl auf fehlerhaften Berechnungen beruht. Es stellt sich die Frage: Wer hat ein Interesse an möglichst hohen Summen?

Eine niederländische investigative Fernsehdokumentation deckte kürzlich auf, dass die Universität Maastricht 2022 in einer Pressemitteilung falsche Zahlen zu Übergewicht und Fettleibigkeit verbreitete. Die dort genannten Kosten von jährlich 79 Milliarden Euro lagen weit über den Ergebnissen internationaler wissenschaftlicher Studien. Sie werden trotzdem bis heute vielfach zitiert.

Nach der Sendung zog die Universität ihre Meldung mit dem Kommentar „die 79 Milliarden Euro hätten nicht verwendet werden dürfen“¹ zurück. In einer schriftlichen Stellungnahme betont die Universität die entscheidende Einschränkung der Studie: Die Stichprobe sei zu klein, um verlässliche Aussagen über die gesamte niederländische Bevölkerung zu erlauben. Warum diese fehlerhaften Angaben dennoch über drei Jahre hinweg unkorrigiert blieben, könne man sich nicht erklären, so der Sprecher.

Die falschen Zahlen kamen durch eine Zusammenarbeit mit der Partnerschaft gegen Übergewicht (PON) zustande. Auf die Kritik sagte eine Sprecherin von PON beschwichtigend, die Summe von 79 Milliarden Euro sei in der Tat „überzogen“ und habe in erster Linie als Weckruf dienen sollen. Die Organisation stellt den Alarmcharakter der Studie in den Vordergrund und erklärt, die konkrete Zahl sei weniger entscheidend als die Botschaft. Andere Expert*innen betonen zurecht: Solche Berechnungen müssen genau belegt werden, da ein überhöhter Betrag es Pharmaun-

ternehmen leicht mache, mehr für ihre Medikamente verlangen. Laut Investigativjournalist Ton van der Ham ist die Forderung nach einem früheren Einsatz von Abnehmspritzen das zentrale Thema: „Derzeit wird heftig darüber debattiert, ob die Abnehmspritzen nur für stark übergewichtige Menschen oder auch für solche mit einem BMI um 27 gedacht sind. Und das bedeutet plötzlich Millionen weitere Betroffene. Das ist natürlich ungemein interessant für die Abnehmindustrie“.²

Kaum verwunderlich: Die Pharmaunternehmen Novo Nordisk und Lilly, zwei Hersteller von Abnehmspritzen, nutzen die falsche Zahl für ihre Öffentlichkeitsarbeit. Sie findet sich zudem in einem Positionspapier, an den damaligen Staatssekretär gerichtet, vom Mai 2025, das eine frühzeitige Behandlung Übergewichtiger fordert. Beteiligt waren acht Gesundheitsökonom*innen, von denen drei Interessenkonflikte haben: Sie arbeiten auch für Health-Ecore, ein Beratungsunternehmen, das Analysen für Lilly erstellt. Der Pharmakonzern will, dass die gesetzlichen Krankenkassen die Kosten seiner neuen Abnehmspritze übernehmen.

Expert*innen kritisieren, dass die Forscher gegen den Verhaltenskodex für wissenschaftliche Integrität verstoßen haben, weil sie ihre Verbindung zu Eli Lilly nicht transparent gemacht haben.¹ (EF)

1 Zembra (2025) Universiteit Maastricht trekt nieuwsbericht obesitasstudie terug <https://www.bnnvara.nl/zembra/artikelen/universiteit-maastricht-trekt-nieuwsbericht-obesitasstudie-terug> [Zugriff 20.11.2025]

2 NOS (2025) Zembra: wetenschappers verzwijgen belangen bij advies aan overheid over afslankmiddelen <https://nos.nl/artikel/2589397-zembra-wetenschappers-verzwijgen-belangen-bij-advies-aan-overheid-over-afslankmiddelen> [Zugriff 24.11.2025]

Eine Vorfassung des Artikels erschien in GPSP 1/2026.

USA: MEDIZINISCHE INFORMATIONSSYSTEME BEDROHT

Für das Auffinden medizinischen Wissens und klinischer Studien spielen zwei von der US-National Library of Medicine (NLM) betriebene Informationssysteme eine zentrale Rolle: Die Datenbank Medline (PubMed) bietet mit 5.264 indizierten Fachzeitschriften weltweit den umfangreichsten Zugriff auf medizinische Artikel und ClinicalTrials.gov den besten Überblick zu klinischen Studien weltweit.

Politische Entscheidungen der Trump-Regierung gefährden jedoch den Zugang und die Verlässlichkeit der Daten. So wurden in den Behörden, die dem US-Gesundheitsministerium unterstehen, mehrere Leitungsposten neu besetzt. Außerdem gab die Regierung nicht das vollständige Budget für die Behörden frei.

Bislang sind die Störungen noch moderat. Während des Government Shutdowns waren einige Dienste nicht verfügbar. Bei ClinicalTrials.gov und Medline gibt es nach wie vor Rückstände bei der Einspeisung von Daten (siehe Screenshot). Es gibt nicht nur die Sorge, dass die Angebote kostenpflichtig werden könnten, sondern auch, dass sie unzuverlässiger werden.

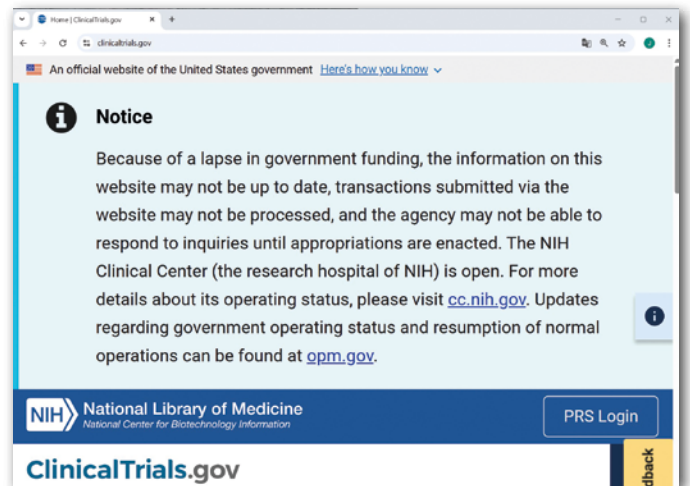
Insbesondere Schlagwörter wie Genderforschung, Bias, Frauen, Diversity oder Inklusion könnten zensiert werden. Damit wären entsprechende Artikel nicht mehr auffindbar – sofern die Einträge nicht sogar komplett gelöscht werden. Diese Befürchtung ist keineswegs aus der Luft gegriffen, denn die staatliche Förderung entsprechender Forschung wurde teilweise gestrichen oder Wissenschaftler*innen mit einem Reise- und Sprechverbot belegt (Communication Freeze).^{1,2}

In einem gemeinsamen Positionspapier warnen das Institut für Qualität im Gesundheitswesen (IQWiG), der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) und Cochrane Deutschland vor den Folgen und suchen nach Alternativen.³ In einem Arbeitspapier hat das IQWiG die Sachlage zusammengefasst und sich Gedanken um mögliche Handlungsoptionen gemacht:⁴

Bei anderen Anbietern fehlen Artikel

Die kostenpflichtige Datenbank Embase, die von ihrer Funktionalität am ehesten mit Medline vergleichbar ist, hat nur 64% der in Medline verfügbaren Zeitschriften indiziert. Bei Crossref finden sich zwar 94% der Zeitschriften, aber diese Datenbank verfügt aber über keine ausreichende Suchfunktionen. Auch wenn man beide Quellen kombiniert, fehlen noch Artikel aus 213 Fachzeitschriften.

Das IQWiG sieht dringenden Handlungsbedarf: Für das frei verfügbare Crossref wird der „Aufbau einer nachhaltigen Infra-



struktur mit einem leistungsfähigen Interface und professionellen Suchfunktionen“ gefordert.

Lücken in der Erfassung von Studien

In der 2000 live gegangenen Datenbank ClinicalTrials.gov waren Ende 2025 über eine halbe Millionen Studien registriert. Seit 2007 muss dort nicht nur das Studienprotokoll, sondern auch eine Zusammenfassung der Ergebnisse veröffentlicht werden.

Andere Register können da nicht mithalten. Das britische ISRCTN Register entspricht zwar von der Informationstiefe ClinicalTrials.gov, listet aber nur gut 26.000 Studien. Die staatlichen EU-Register EU CTR und sein Nachfolger CTIS verzeichnen zusammengekommen 53.000 Studien, öfter auch Ergebnisse, aber bieten nur Minimalangaben zu den Studien. Gleiches gilt für das Metaportal ICTRP der Weltgesundheitsorganisation (WHO) mit fast einer Million Einträgen.

Das IQWiG empfiehlt, das WHO-Portal benutzerfreundlicher zu machen und das EU-Register CTIS für die freiwillige Registrierung zu öffnen. Perspektivisch sei es besser, eine zentrale Plattform zu fördern und die Registrierungspflichten gesetzlich zu verschärfen, damit sich die Register auch füllen. (JS)

- 1 Ärzteblatt (2025) „Momentan müssen wir uns jederzeit auf drastische Einschränkungen gefasst machen“. 30.4. <https://www.aerzteblatt.de/search/result/31688829-8439-4d0c-a770-40604302b7f4?q=waffenschmidt> [Zugriff 2.2.2026]
- 2 Gross G et al. (2025) Regierungswechsel in den USA: Wissenschaft weltweit unter Druck. Dtsch Arztebl International, S. 215 <https://www.aerzteblatt.de/archiv/regierungswechsel-in-den-usa-wissenschaft-weltweit-unter-druck>
- 3 IQWiG et al. (2025) Informationsbeschaffung in unsicheren Zeiten Version 2, 18.12. www.iqwig.de/presse/im-fokus/us-wissenschaftspolitik/auswirkungen-der-us-politik-auf-die-literaturrecherche [Zugriff 2.2.2026]
- 4 IQWiG (2025) Sicherstellung wissenschaftlicher Recherchen ohne PubMed und ClinicalTrials.gov; Arbeitspapier <https://doi.org/10.60584/GA25-07> [Zugriff: 2.2.2026]

Impressum: Herausgeber BUKO Pharma-Kampagne, August-Bebel-Str. 62, D-33602 Bielefeld, Telefon 0521-60550, Telefax 0521-63789, Verleger: Gesundheit – global und gerecht e.V., August-Bebel-Str. 62, D-33602 Bielefeld
Redaktion: Jörg Schaab (verantwortlich), Ella Feldmann, Max Klein, Hendrike Otto, Susan Weise (Layout)
Design: Heinrich Dunstheimer, dunemaison, Bielefeld, Druck: Druckerei und Verlag Kurt Eilbracht, Löhne, © 2026 BUKO Pharma-Kampagne. Bezugsbedingungen: Erscheinungsweise 10 Ausgaben jährlich. Einzelabo 26 €, Institutionen- oder Auslandsabo 50 €. Für Mitgliedsgruppen der BUKO ist der Bezugspreis im Mitgliedsbeitrag enthalten. Daten der regelmäßigen Pharma-Brief-Bezieher*innen werden mit EDV verarbeitet. An Dritte werden die Daten nicht weitergegeben.
Konto Gesundheit – global und gerecht e.V., Sparkasse Bielefeld, für Abos: DE23 4805 0161 0000 1056 01
Konto für Spenden: DE97 4805 0161 0000 1056 27, BIC: SPBIDE33XXX, Spenden sind erwünscht und steuerabzugsfähig.

pharma-brief@bukopharma.de
www.bukopharma.de



Der Pharma-Brief ist Mitglied der Internationalen Gesellschaft der unabhängigen Arzneimittelzeitschriften. www.isdbweb.org





EMODEPSID: BESCHWERLICHER WEG ZUR UMNUTZUNG

Beim Menschen zählen Erkrankungen mit Helminthen (parasitären Würmern) zu den oft schwer zu behandelnden Armutskrankheiten, auch auf der WHO-Liste vernachlässigter Tropenkrankheiten sind sie zu finden.¹ Die Forschung dazu ist entsprechend stark unterfinanziert, die neuesten Wurmmittel sind 40 Jahre alt. Das macht das sogenannte Repurposing für Wissenschaftler*innen besonders attraktiv. Dabei werden bereits bekannte Wirkstoffe für andere Verwendungszwecke in der Medizin getestet.

Der Wirkstoff Emodepsid wird in der Veterinärmedizin seit Jahren zur Entwurmung eingesetzt, etwa bei Hund und Katze. Gleich drei Medienveröffentlichungen beleuchteten Ende 2025 seinen beschwerlichen Weg bei der Umnutzung für die Humanmedizin.^{2,3,4} Die BUKO Pharma-Kampagne lieferte Hintergrundinformationen für die Recherche und kommt in einem Beitrag ausführlich zu Wort: Unter dem bezeichnenden Titel „Erst die Katze – dann der Mensch“ widmet sich das Feature von WDR/Deutschlandfunk/SWR auch der problematischen Rolle der Firma Bayer in dem Prozess.

Wurmerkrankungen beim Menschen sind äußerst divers, viele von ihnen zoonotischer Natur, aber auch die Übertragung von Mensch zu Mensch spielt eine zentrale Rolle. Dabei rücken neben Medikamenten besonders die Lebensumstände von Patient*innen in den Fokus, etwa der Zugang zu sauberem Trinkwasser und angemessener Sanitärversorgung. (MK)

- 1 Pharma-Brief (2024) Von wegen exotisch. Vernachlässigte Tropenkrankheiten im Fokus. Spezial Nr. 1
- 2 Keller M (2025) Hoffen auf ein Medikament aus der Tiermedizin. FAZ, 14.11. www.faz.net/aktuell/wissen/medizin-ernaehrung/medikament-emodepsid-hilfe-gegen-wurmerkrankungen-110768971.html [Zugriff 15.1.2026]
- 3 Keller M (2025) Wie eine Pharmazeutin den Peitschenwurm besiegen will. Deutschlandfunk, 27.10. www.deutschlandfunk.de/peitschenwurm-entwurmungsmittel-tropenmedizin-100.html [Zugriff 15.1.2026]
- 4 Keller M (2025) Über das Versagen des globalen Pharmamarkts. Erst die Katze – dann der Mensch. WDR/Deutschlandfunk/SWR, 16.12. www.hoerspielundfeature.de/erst-die-katze-dann-der-mensch-100.html [Zugriff 15.1.2026]

GELBFIEBER-IMPfung: KINDER BRAUCHEN HÖHERE DOSIS

In den letzten Jahren konnte gezeigt werden, dass mit ca. 500 IU eine wesentlich geringere Dosis des Gelbfieberimpfstoffs bei Erwachsenen eine vergleichbare Wirksamkeit hat wie die bisherige Standarddosis. Das ist bei größeren Krankheitsausbrüchen relevant, da sich der Impfstoff nicht schnell in großen Mengen herstellen lässt. Die WHO empfiehlt seit 2017 für Epidemien beim Aufteilen von Impfstoffen eine Minstdosis von 1000 IU.

Eine Studie untersuchte jetzt in Kenia, ob auch bei Kleinkindern 500 IU reichen.¹ Im Vergleich zur Standarddosis von 13.000 IU wurde aber keine Gleichwertigkeit erreicht, die Immunität bei Kindern ist mit der gleichen Dosis also geringer als bei Erwachsenen. Daraus schließen die Autor*innen, dass für die Routineimpfung bei Kindern in Endemiegebieten derzeit die Standarddosis besser geeignet ist. (JS)

- 1 Kimathi et al. (2026) Low-dose yellow fever vaccination in infants. Lancet [https://doi.org/10.1016/S0140-6736\(25\)02069-0](https://doi.org/10.1016/S0140-6736(25)02069-0)



UN-ERKLÄRUNG ZU NCDS UND MENTALER GESUNDHEIT

Chance für die allgemeine Gesundheitsversorgung?

Die Generalversammlung der Vereinten Nationen verabschiedete im Dezember nahezu einstimmig eine Erklärung zur Bekämpfung von nicht übertragbaren Erkrankungen (NCDs) und zur Förderung der mentalen Gesundheit, nur die USA und Argentinien stimmten dagegen.¹

Die WHO spricht von der weitreichendsten Erklärung ihrer Art in Bezug auf Umfang und Verpflichtungen. Sie formuliert drei globale Ziele bis 2030: 150 Millionen weniger Tabaknutzer*innen, 150 Millionen Menschen zusätzlich mit kontrolliertem Bluthochdruck und 150 Millionen Menschen zusätzlich mit Zugang zu psychischer Gesundheitsversorgung. Hinzu

kommen mehrere Prozess-Ziele.² Unter anderem sollen mindestens 60% der Länder bis 2030 über finanzielle Maßnahmen zur Deckung oder Begrenzung der Behandlungskosten für NCDs und mentale Gesundheit verfügen.

Für die Bekämpfung und Behandlung von NCDs ist eine bezahlbare allgemeine Gesundheitsversorgung (UHC) unerlässlich.³ In einem öffentlich zugänglichen Berichtsentwurf stellt die WHO jedoch fest, dass mit der momentanen Geschwindigkeit des Fortschritts die Ziele für nachhaltige Entwicklung (SDGs) im Bereich UHC deutlich verfehlt werden. Im Jahr 2023 hatten immer noch 57% der Weltbevölkerung keinen Zugang zu grundlegender Gesundheitsversorgung.⁴

Die Weltgemeinschaft könnte die UN-Erklärung als Chance nutzen, das Tempo des Fortschritts zu erhöhen. (HO)

- 1 Cullinan K (2025) Near Unanimous Adoption of UN Declaration on NCDs and Mental Health – Only US and Argentina Opposed. Health Policy Watch, 16 Dec <https://healthpolicy-watch.news/near-unanimous-adoption-of-un-declaration-on-ncds/> [Zugriff 15.1.2026]
- 2 WHO (2025) World leaders adopt a historic global declaration on noncommunicable diseases and mental health. News release 16 Dec www.who.int/news/item/16-12-2025-world-leaders-adopt-a-historic-global-declaration-on-noncommunicable-diseases-and-mental-health [Zugriff 15.1.2026]
- 3 Pharma-Brief (2025) Nicht übertragbare Krankheiten. Die stille Epidemie. Spezial Nr. 2
- 4 WHO and World Bank Group (2025) Tracking universal health coverage: 2025 global monitoring report. [Draft] www.who.int/publications/i/item/9789240117815 [Zugriff 15.1.2026]