

Antwort

der Bundesregierung

**auf die Kleine Anfrage der Abgeordneten René Röspel, Dr. Ernst Dieter Rossmann, Dr. Hans-Peter Bartels, weiterer Abgeordneter und der Fraktion der SPD
– Drucksache 17/3728 –**

Erforschung der Amyotrophen Lateralsklerose und Stand der Forschungsförderung

Vorbemerkung der Fragesteller

Bei der Amyotrophen Lateralsklerose (im Folgenden: ALS) handelt es sich um eine degenerative Erkrankung des motorischen Nervensystems. Im Verlauf der Krankheit sterben Nervenzellen im Gehirn, im Gehirnstamm sowie im äußeren Teil des Rückenmarks ab, die die Muskulatur versorgen, was zu Lähmungen der gesamten Skelettmuskulatur und dadurch zum Tod führt.

Jedes Jahr erkranken in Deutschland rund ein bis drei von 100 000 Menschen an dieser Krankheit. Das durchschnittliche Erkrankungsalter liegt bei 56 bis 58 Jahren und Männer sind häufiger von ALS betroffen als Frauen (im Verhältnis 1,5 zu 1). Weltweit werden 120 000 Neuerkrankungen pro Jahr geschätzt.

Wegen der relativ geringen Zahl der Patientinnen und Patienten wird die Krankheit als „seltene Krankheit“ (orphan disease) geführt und es gibt für Unternehmen der pharmazeutischen Industrie kommerziell wenige Anreize, um die Krankheit, ihre Ursachen und mögliche Therapien zu erforschen.

Hinzu kommt, dass ALS bei vielen Patientinnen und Patienten in kurzer Zeit zu schweren Behinderungen und zum Tod führt und deshalb für die Öffentlichkeit kaum wahrnehmbar verläuft.

In den Fokus der Öffentlichkeit rückt die ALS insbesondere dann, wenn bekannte Persönlichkeiten an ALS erkranken. Ein Beispiel aus der jüngeren Vergangenheit ist der Fall des Kunstprofessors Jörg Immendorff.

Die Ursachen der ALS sind bis heute weitgehend ungeklärt und insbesondere in der Anfangsphase der Erkrankung ist das Krankheitsbild sehr variabel. Die ALS ist nicht heilbar und der Krankheitsverlauf führt im Schnitt nach drei bis fünf Jahren zum Tod. Die Behandlung der ALS erfolgt daher in erster Linie symptomatisch und dient nicht zuletzt dazu, die Lebensqualität der Betroffenen zu erhöhen bzw. zu erhalten.

1. Wie viele Neuerkrankungen an ALS gibt es nach Kenntnis der Bundesregierung jährlich in Deutschland?

Genauere Daten zur Anzahl der Neuerkrankungen an ALS in Deutschland liegen nicht vor. Epidemiologische Daten zu Neuerkrankungsraten an ALS sind jedoch aus bevölkerungsbasierten Krankheitsregistern in anderen Ländern (Italien, Schottland, Irland, England und den USA) verfügbar. Aus diesen Registern ist bekannt, dass die Neuerkrankungsrate bei 1,5 bis 2,5 Fällen pro 100 000 Einwohner pro Jahr liegt. Hieraus lässt sich für Deutschland hochrechnen, dass pro Jahr wahrscheinlich etwa 1 200 bis 2 000 Menschen neu an einer ALS erkranken. Derzeit werden in einzelnen Regionen Deutschlands (Rheinland-Pfalz, Region Schwaben, Nordrhein-Westfalen) bevölkerungsbasierte Register zur Erfassung aller ALS-Erkrankungen aufgebaut und auch ein deutschlandweites Register ist geplant. Diese Register werden in einigen Jahren wahrscheinlich eine exaktere Abschätzung der Häufigkeit von ALS in Deutschland ermöglichen.

2. Handelt es sich nach Einschätzung der Bundesregierung bei der ALS um eine „seltene Krankheit“?

In der Europäischen Union gilt eine Erkrankung als selten, wenn nicht mehr als fünf von 10 000 Menschen in der EU von ihr betroffen sind. Nach dieser Definition ist ALS eine seltene neurodegenerative Erkrankung.

3. Welche Ursachen der ALS sind der Bundesregierung bekannt und fördert der Bund Projekte zur Erforschung aller aktuell bekannten Ursachen der ALS?

Die Ursachen der ALS sind weitgehend ungeklärt. Verschiedene Genmutationen und Umweltfaktoren sind mit der ALS in Zusammenhang gebracht worden. Insgesamt wird davon ausgegangen, dass es sich um ein komplexes genetisches Geschehen handelt, bei dem zahlreiche genetische Faktoren und Umweltfaktoren zusammenwirken. Die Mehrzahl der Fälle tritt sporadisch auf, nur bei weniger als 10 Prozent der Betroffenen liegt eine familiäre Form der ALS mit meist autosomal-dominantem Erbgang vor.

Bei etwa 20 Prozent der Patienten mit familiärem Hintergrund liegen Mutationen des Enzyms SOD I vor. Kürzlich wurde entdeckt, dass eine Vervielfachung der Aminosäure Glutamin im Ataxin-2-Protein mit einem erhöhten Risiko für ALS assoziiert ist. Der neurotoxische Effekt von Ataxin-2 scheint in der Bildung von Aggregaten mit einem weiteren Protein, TDP-43, zu liegen. Mutationen dieses Proteins wurden sowohl bei sporadischen als auch bei familiären Formen von ALS gefunden. Auch bei anderen neurodegenerativen Erkrankungen, z. B. Morbus Alzheimer oder Morbus Parkinson, sind derartige neurotoxischen Proteinaggregate als Krankheitsursachen bekannt. Der Bund fördert zahlreiche Projekte, die diese Mechanismen untersuchen.

4. An welchen deutschen Forschungseinrichtungen werden derzeit Forschungsprojekte mit Bezug zur ALS durchgeführt?

Die folgende Aufzählung erhebt keinen Anspruch auf Vollständigkeit:

Forschungsprojekte mit direktem Bezug zur ALS werden beispielsweise an den Universitäten Göttingen, München, Jena, Leipzig, Ulm, Tübingen und Würzburg durchgeführt (in alphabetischer Reihenfolge). Zahlreiche Kliniken in Deutschland waren und sind als Studienzentren an der Durchführung klinischer

Studien zur Untersuchung potenzieller neuer Mittel gegen ALS beteiligt. Beispielfähig zu nennen sind hier die Charité – Universitätsmedizin Berlin sowie die Universitätskliniken Ulm und Bochum. Die Charité – Universitätsmedizin Berlin arbeitet weiterhin zusammen mit der Deutschen Gesellschaft für Muskelkranke e. V., dem Fraunhofer Institut für Arbeitswirtschaft und Organisation sowie den Universitäten Augsburg und Leipzig an der Gestaltung kooperativer Dienstleistungssysteme für personenbezogene Dienstleistungen am Beispiel der ALS. Die Technische Universität Berlin und das Unfallkrankenhaus Berlin entwickeln etwa eine mittels Bioimpedanz geregelte Schluckneuroprothese, die bei Dysphagie (Schluckstörung) eingesetzt werden kann, die in Zusammenhang mit ALS auftritt.

Darüber hinaus werden an zahlreichen deutschen Forschungseinrichtungen weitere Forschungsprojekte mit Bezug zu Pathomechanismen neurodegenerativer Erkrankungen durchgeführt, deren Ergebnisse unmittelbar auch für ALS relevant sein können.

5. In welcher Höhe hat sich der Bund finanziell an der Erforschung der ALS und ihrer Ursachen in den vergangenen Jahren beteiligt?
6. Mittels welcher Maßnahmen und Projekte unterstützt die Bundesregierung die Suche nach verbesserten Verfahren zur frühzeitigen Diagnose der ALS?

Die Fragen 5 und 6 werden im Zusammenhang beantwortet.

Die Suche nach verbesserten Verfahren zur frühzeitigen Diagnose verschiedener neurodegenerativer Erkrankungen, darunter auch ALS, wird u. a. durch grundlagenorientierte Projekte zum besseren Verständnis der Ursachen und Pathomechanismen der jeweiligen Erkrankungen unterstützt. Die Kenntnis der Pathomechanismen ist essentiell für eine frühzeitige Diagnose. Solange die Krankheitsursachen nicht abschließend geklärt sind, dient daher auch Pathogeneseforschung dem Ziel der Diagnosestellung. Der Bund hat allein in den letzten Jahren mit knapp 50 Mio. Euro die Erforschung neurodegenerativer Erkrankungen, darunter ALS, und deren Grundlagen unterstützt. Durch vermutete Ähnlichkeiten in den Pathomechanismen verschiedener neurodegenerativer Erkrankungen können diese Ergebnisse auch unmittelbar zum Verständnis der Ursachen von ALS beitragen.

Zum anderen werden aber auch anwendungsnähere Projekte und Technologieentwicklungen gefördert, beispielsweise die Identifizierung krankheitsrelevanter Proteine im peripheren Nervensystem, High-Performance-Proteomanalysen und quantitative Proteomics sowie die Identifizierung relevanter Biomarker und bioinformatische Analyseverfahren.

Projekte mit direktem Bezug zur ALS sind im Folgenden aufgeführt. Die Daten sind auch der Vorhabenübersicht des Bundesministeriums für Bildung und Forschung (BMBF) zu entnehmen (www.gesundheitsforschung-bmbf.de/de/179.php):

ERA-Net NEURON: Modelle der sporadischen ALS basierend auf genetischer Umprogrammierung von Patientenfibroblasten (TP 5)

Technische Universität München	Leiter:	Dr. Thomas Misgeld
	Betrag:	269 284 Euro
	Laufzeit:	1. 2. 2009 bis 31. 1. 2012

ERA-Net NEURON: Der aktivitätsabhängige ER-Mitochondrien-Kalzium-Zyklus und die Fehlfaltung von Proteinen bei neurodegenerativen Erkrankungen: Die Suche nach neuen therapeutischen Ansätzen (TP 3)

Georg-August-Universität Göttingen Leiter: Prof. Dr. Bernhard Keller
 Betrag: 205 134 Euro
 Laufzeit: 1. 3. 2009 bis 29. 2. 2012

ERA-Net NEURON: Der aktivitätsgesteuerte ER-Mitochondrien-Kalzium-Zyklus und Proteinfehlfaltung bei neurodegenerativen Erkrankungen: Identifizierung neuer Ziele therapeutischer Intervention (TP 4)

Universitätsklinikum Jena Leiter: PD Dr. Julian Grosskreutz
 Betrag: 237 136 Euro
 Laufzeit: 1. 3. 2009 bis 29. 2. 2012

Bernstein Fokus Neurotechnologie – Hybrid Brain – Teilprojekt C2: Direct-Brain-Communication, Neuroprothesen und Hirnimplantate bei Gelähmten

Dieses Vorhaben wird mit insgesamt 3 085 908 Euro für alle 6 Teilprojekte gefördert, davon entfallen ca. 800 000 Euro auf das Teilprojekt C2, das Untersuchungen an ALS-Patienten durchführt.

Eberhard-Karls-Universität Tübingen Leiter: Prof. Dr. Niels Birbaumer
 Betrag: etwa 800 000 Euro
 Laufzeit: 1. 9. 2008 bis 31. 8. 2013

Verbundprojekt: Bioimpedanz-geregelte Schluckneuroprothese (BigDysPro)

Die TU Berlin entwickelt Mess- und Stimulationssysteme, Regelalgorithmen und Verfahren zur Schluckintentions- und Aspirationserkennung. Auf Verbundebene unterstützt die TU Berlin das Unfallkrankenhaus Berlin technisch bei der Durchführung der klinischen Untersuchungen.

Technische Universität Berlin Leiter: Prof. Dr. Jörg Raisch
 Betrag: 229 512 Euro
 Laufzeit: 1. 4. 2010 bis 31. 3. 2013

Unfallkrankenhaus Berlin e.V. Leiter: Dr. Rainer O. Seidl
 Betrag: 230 388 Euro
 Laufzeit: 1. 4. 2010 bis 31. 3. 2013

7. Ist es richtig, dass – wenn man die Zahlen und Fakten aus der Antwort der Bundesregierung auf die Schriftliche Frage 53 des Abgeordneten René Röspel vom 13. April 2010 (Bundestagsdrucksache 17/1389) zugrunde legt – in den Jahren 2009 bis 2012 das Bundesministerium für Bildung und Forschung (BMBF) die ALS-Forschung mit nur rund 130 Euro pro Neu-erkrankung fördert?

Es wird auf die Antwort zu den Fragen 5 und 6 verwiesen.

Eine Auswertung der Forschungsdatenbank des OrphaNet ergab, dass es keine klare Korrelation zwischen der Höhe der Förderung und der Prävalenz einzelner seltener Erkrankungen gibt. Daher ist eine Verrechnung der Forschungsförderung in Euro pro Erkranktem kein aussagekräftiger Parameter für die Forschungsintensität.

8. Wie wurden durch das Bundesministerium für Bildung und Forschung die im Bundeshaushalt 2009 zusätzlich eingestellten 3 Mio. Euro für die Erforschung von „seltene“ sowie vernachlässigten Krankheiten genutzt (bitte um tabellarische Übersicht mit Projektbeschreibung, Ziel, Projektverantwortlicher, Ort usw.)?

Die Mittel wurden zu etwa gleichen Teilen für „seltene“ und „vernachlässigte“ Erkrankungen verwendet. Im Folgenden werden die Projekte zu seltenen Erkrankungen aufgeführt.

Die Mittel für seltene Erkrankungen wurden in Höhe von 1,55 Mio. Euro für die Förderung des Netzwerks für Ichthyosen und verwandte Verhornungsstörungen (NIRK) eingesetzt. Dieses Netzwerk hat als Ziel, Erkrankungsmechanismen bei Ichthyosen und Verhornungsstörungen auf verschiedenen wissenschaftlichen Ebenen zu ergründen und abzuklären. Dabei wird ein integrierter Ansatz mit dem Austausch von klinischen Daten, Biopsiematerial, histologischen Daten, biochemischen Befunden, ultrastrukturellen Befunden, Befunden die sich bei Mutationsscreening von einzelnen Patienten ergeben, als auch von Informationen aufgrund von Genkartierungsuntersuchungen und funktionellen Analysen bekannter pathogener Mutationen, die für Ichthyose und verwandte Verhornungsstörungen ursächlich sind, verfolgt. Das Netzwerk wird in den folgenden Teilprojekten gefördert. Die Daten sind auch der Vorhabenübersicht des BMBF zu entnehmen (www.gesundheitsforschung-bmbf.de/de/179.php):

Teilprojekt A: Medizinisches Zentralregister; Teilprojekt B: Biometrie und Informationstechnologisches Zentrum; Teilprojekt C: Netzbüro; Teilprojekt H: Biochemische Charakterisierung und Enzymsubstitution

Westfälische Wilhelms-Universität Münster	Leiter:	Prof. Dr. Heiko Traupe
	Betrag:	802 232 Euro
	Laufzeit:	1. 7. 2009 bis 30. 6. 2012

Teilprojekt D: Charakterisierung von Genen für kongenitale Ichthyose; Teilprojekt E - Mechanismen der Krankheitsentstehung bei der epidermolytischen Hyperkeratose

Universität zu Köln	Leiterin:	Prof. Dr. Christian Hennies
	Betrag:	415 265 Euro
	Laufzeit:	1. 7. 2009 bis 30. 6. 2012

Teilprojekt F: Funktionelle Charakterisierung von Mutationen im Chromosom Xp11.23, die ursächlich für das Conradi-Hünemann-Happle-Syndrom sind

Philipps-Universität Marburg	Leiter:	Prof. Dr. Karl-Heinz Grzeschik
	Betrag:	143 214 Euro
	Laufzeit:	1. 7. 2009 bis 30. 6. 2012

Teilprojekt G: Ultrastrukturelle Charakterisierung von erblichen Verhornungsstörungen und spezielle Aspekte der terminalen Differenzierung

Ruprecht-Karls-Universität Heidelberg	Leiterin:	Dr. Ingrid Hausser
	Betrag:	194 210 Euro
	Laufzeit:	1. 7. 2009 bis 30. 6. 2012

9. Sind über die in 2009 und 2010 eingestellten Finanzmittel zur Erforschung von „seltenen“ sowie vernachlässigten Krankheiten zusätzliche Gelder für dieses Forschungsfeld erforderlich, und wenn nein, aus welchen Gründen nicht?

Für das Jahr 2011 sind ca. 9 Mio. Euro speziell für die Erforschung seltener Erkrankungen im Rahmen des laufenden nationalen Förderschwerpunkts und der internationalen Förderung im Rahmen von E-Rare vorgesehen. Darüber hinaus wird die Erforschung seltener Erkrankungen im Rahmen von anderen Förderschwerpunkten des Gesundheitsforschungsprogramms 2011 mit voraussichtlich mehr als 15 Mio. Euro gefördert.

Für armutsbedingte und vernachlässigte Erkrankungen sind im Rahmen laufender und geplanter Vorhaben innerhalb der „European and Developing Countries Clinical Trials Partnership“, sowie der beginnenden Förderung von Produktentwicklungspartnerschaften für 2011 rund 6 Mio. Euro eingestellt.

10. Woran scheidet nach Erkenntnissen des Bundesministeriums für Bildung und Forschung eine Ausweitung der ALS-Forschung in Deutschland (Qualität der Projektskizzen, mangelnde Haushaltsmittel, Mangel an fachkundigen Wissenschaftlerinnen/Wissenschaftlern, usw.)?

Verschiedene bereits bestehende Fördermaßnahmen wären geeignet, Forschungsprojekte zu ALS zu fördern. Eine Ausweitung der Förderung auf diesem Wege scheidet bislang häufig an der Qualität der Projektskizzen sowie an mangelnder Evidenz der vorgeschlagenen Therapieansätze.

11. Wie viele Projektförderanträge mit direktem Bezug zur ALS-Forschung wurden in den vergangenen Jahren abgelehnt, und aus welchen Gründen (bitte um tabellarische Übersicht)?

Die Frage nach der Anzahl der abgelehnten Projekte ist nur schwer zu beantworten, da ein Bezug zur ALS-Forschung je nach Forschungstyp (z. B. Grundlagenforschung, Klinische Forschung-Versorgungsforschung) unterschiedlich eng sein kann. Eine belastbare und differenzierte Antwort würde eine Bewertung einer Vielzahl von Projektanträgen erfordern, die in der Kürze der zur Verfügung stehenden Zeit nicht leistbar ist. Für Ablehnungsgründe siehe Antwort zu Frage 10.

12. Wie erklärt die Bundesregierung, dass einerseits laut Antwort auf die Schriftliche Frage 53 des Abgeordneten René Röspel vom 13. April 2010 auf Bundestagsdrucksache 17/1389 nur drei Projekte zu ALS über das Bundesministerium für Bildung und Forschung gefördert werden, andererseits aber laut Antwort der Bundesregierung auf die Schriftliche Frage 120 der Abgeordneten Birgitt Bender vom 8. Juni 2010 (Bundestagsdrucksache 17/2060) die ALS in „einigen nationalen wie internationalen Förderprogrammen des BMBF Berücksichtigung finden“ könne und hier insgesamt sechs Programme aufgezählt werden, und wie passen diese beiden Aussagen zusammen?

Das Bundesministerium für Bildung und Forschung bietet Bekanntmachungen zu Fördermaßnahmen im nationalen und internationalen Kontext an, an denen sich Forscherinnen und Forscher aus dem Bereich der ALS-Forschung konkurrierend mit Kolleginnen und Kollegen aus anderen Forschungsbereichen beteiligen können. Wie viele der Forschungsanträge zum Thema ALS tatsächlich gefördert werden, hängt vom Ergebnis der vergleichenden Begutachtung ab.

Im Übrigen wird auf die Antwort zu den Fragen 5, 6 und 10 verwiesen.

13. Welche Maßnahmen plant die Bundesregierung, damit in Deutschland eine hinreichend große Forschungslandschaft im Bereich der ALS-Forschung entsteht, damit sich etwa die Einrichtung eines eigenständigen Kompetenznetzes ALS lohnen würde?

Kompetenznetze in der Medizin sind ein Förderinstrument für große Wissenschaftlergruppen, das im Wesentlichen dazu dient, den Wissenstransfer aus der Forschung in die Praxis zu befördern. Eine der wichtigsten Voraussetzungen für die Einrichtung eines Kompetenznetzes ist das Vorhandensein einer hinreichend entwickelten, qualitativ exzellenten Forschungsszene in Deutschland. Im Bereich der ALS-Forschung erreicht die Forschungsszene nicht die kritische Größe für ein Kompetenznetz. Es stehen jedoch in hinreichendem Maße andere Fördermaßnahmen zur Verfügung, um eine Förderung auch im Bereich ALS-Forschung zu ermöglichen und dieses Forschungsfeld in Deutschland zu entwickeln. Zusätzliche Maßnahmen sind nach Einschätzung der Bundesregierung nicht erforderlich.

14. Gibt es Pläne, im Rahmen der von der EU-Kommission vorangetriebenen Maßnahmen zur Bekämpfung von „seltene Krankheiten“ auch einen Schwerpunkt im Bereich ALS zu setzen, und wenn nein, aus welchen Gründen nicht?

Die Maßnahmen zur Bekämpfung von „seltene Krankheiten“ der Europäischen Kommission haben primär zum Ziel, die Versorgung von Patientinnen und Patienten mit seltenen Erkrankungen zu verbessern. Der Ansatz ist hierbei nicht spezifisch für eine einzelne der bis zu 8 000 seltenen Erkrankungen, sondern zielt darauf ab, Maßnahmen zu initiieren, die eine möglichst große Zahl von seltenen Erkrankungen umfassen. Hierzu zählt u. a. die Verabschiedung eines „Nationalen Aktionsplans“ zu seltenen Erkrankungen (siehe auch Antwort zu Frage 16).

15. Unterstützt die Bundesregierung die Pläne der EU-Kommission, im Bereich der „seltene Krankheiten“ die begrenzten nationalen (Forschungs-)Ressourcen besser miteinander zu vernetzen, um so die Bekämpfung dieser Krankheiten zu erleichtern, und wenn ja, mittels welcher Maßnahmen?

Die Bundesregierung unterstützt bereits seit 2003 die Vernetzung der nationalen Forschungsressourcen im Förderschwerpunkt seltene Erkrankungen. Ziel des Förderschwerpunkts ist eine Vernetzung von Grundlagenforschung, klinischer Forschung und Versorgungsforschung sowie die Unterstützung interdisziplinärer Kooperationen durch die Zusammenarbeit in Forschungsverbänden. Dadurch soll eine systematische Forschung sowie ein optimaler Informationsfluss von der Forschung in die Versorgung und zurück gewährleistet werden, um damit die Voraussetzungen für eine kompetente Patientenversorgung zu schaffen.

Für die Förderung bis 2012 wurden bisher rund 55 Mio. Euro bereitgestellt. Zurzeit werden 16 Verbände für seltene Erkrankungen mit rund 24 Mio. Euro für drei Jahre gefördert. Eine im September 2010 veröffentlichten Bekanntmachung bietet die Gelegenheit, Anträge für den Aufbau neuer bzw. die Weiterführung existierender überregionaler oder bundesweiter Forschungsverbände mit Abgabetermin 15. Februar 2011 zu stellen. Hier können auch Anträge zu ALS-Forschung eingereicht werden. Wenn ein eingereichter Antrag in der Prüfung der wissenschaftlichen Qualität durch ein international besetztes Gutachtergremium von Wissenschaftlern positiv bewertet wird, wird sich das BMBF über die Möglichkeit der Förderung entscheiden.

Auf internationaler Ebene ist das BMBF ein maßgeblicher Akteur im ERA-Net E-RARE, in dem Forschungsförderorganisationen mehrerer Länder zusammenarbeiten, um gemeinsame Förderbekanntmachung und Projektförderung transnationaler Kooperationsprojekte durchzuführen. Bisher wurden zwei Bekanntmachungen veröffentlicht (2007 und 2009), aus denen 29 transnationale Projekte mit rund 20 Mio. Euro gefördert werden. Die deutschen Partner in 24 dieser Projekte werden mit rund 6,3 Mio. Euro unterstützt. Die Mittel für diese Projekte stammen aus den nationalen Forschungsbudgets, während der Koordinierungsaufwand durch Mittel der Europäischen Kommission unterstützt wird. Diese Förderung ergänzt die Fördermöglichkeiten im 7. Forschungsrahmenprogramm.

16. Wird die Bundesregierung – wie von der Europäischen Union empfohlen (Ratsempfehlung 2009/ C 151/02) – bis Ende 2013 einen nationalen Plan zur Bekämpfung „seltener Krankheiten“ vorlegen, wird die ALS hier explizit Berücksichtigung finden, und ist es der Bundesregierung möglich, bereits vor 2013 einen entsprechenden Plan vorzulegen?

Am 8. März 2010 wurde das Nationale Aktionsbündnis für Menschen mit seltenen Erkrankungen (NAMSE) gegründet. Das Bündnis soll ausgehend von bereits bestehenden Strukturen und anhand europäischer Erfahrungen Vorschläge für einen nationalen Aktionsplan für seltene Erkrankungen erarbeiten.

Das Aktionsbündnis soll dazu beitragen, die Empfehlung des Rates der Europäischen Union vom 8. Juni 2009 umzusetzen. Dazu gehört auch die Erstellung eines Nationalen Aktionsplans für Seltene Erkrankungen bis 2013. Die laufenden Arbeiten des Aktionsbündnisses bleiben abzuwarten.

Da etwa 7 000 bis 8 000 Erkrankungen als selten eingestuft werden, werden von dem Nationalen Aktionsbündnis alle etwa vier Millionen Menschen in Deutschland berücksichtigt, die von einer seltenen Erkrankung betroffen sind.

17. Wird sich die Bundesregierung dafür einsetzen, dem Bereich der „seltene Krankheiten“ im 8. Forschungsrahmenprogramm (FRP) der Europäischen Union einen im Vergleich zum 7. FRP noch höheren Stellenwert einzuräumen?

Die Beratungen zum 8. FRP befinden sich zurzeit noch in einer Phase, in der die Grundstruktur des Rahmenprogramms geplant wird. Diese wird insbesondere die großen Herausforderungen für die zukünftigen Generationen einbeziehen (Lund Deklaration 2009). Aus Sicht der Bundesregierung sollten seltene Erkrankungen weiterhin eine der Prioritäten des Forschungsrahmenprogramms bleiben.

18. Wie viele Projekte der Versorgungs- und Pflegeforschung für den Bereich ALS werden in Deutschland gefördert (bitte um Auflistung)?

Die Bundesregierung hält keine systematischen Informationen über die Forschung an den ca. 7 000 bis 8 000 seltenen Erkrankungen vor. Eine (wahrscheinlich unvollständige) Sammlung von Informationen findet sich bei Orpha-Net (www.orpha.net).

Im Übrigen wird auf die Antwort zu Frage 4 verwiesen.

19. Sieht die Bundesregierung Bedarf für eine sich im Besonderen mit der ALS befassende Versorgungs- und Pflegeforschung, und wenn nein, aus welchen Gründen nicht?

Von Patientenvereinigungen wird ein Bedarf an Versorgungs- und Pflegeforschung für seltene Erkrankungen im Allgemeinen konstatiert. Darin unterscheidet sich ALS nicht von anderen seltenen Erkrankungen. Verschiedene Fördermaßnahmen zur Versorgungs- oder Pflegeforschung stehen für Projekte unterschiedlicher Indikationen offen, einschließlich der ALS. Von den zuletzt in der Fördermaßnahme zur versorgungsnahen Forschung eingereichten 380 Projektskizzen wies allerdings keine einen Bezug zur ALS auf.

20. Welche Studien sind der Bundesregierung aktuell bekannt, in deren Rahmen Medikamente, die bereits für andere neurologische Erkrankungen genutzt werden, dahingehend untersucht werden, ob sie einen Beitrag zur Behandlung der ALS leisten könnten (bitte um tabellarische Übersicht)?

Im Zuständigkeitsbereich des Bundesinstituts für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM) wurden seit Einführung des Genehmigungsverfahrens für klinische Prüfungen im August 2004 bis heute (Stand 15. November 2010) acht Studien für Patientinnen und Patienten mit amyotropher Lateralsklerose (ALS) genehmigt. Die folgende tabellarische Übersicht erfasst die untersuchten Prüfpräparate, deren Wirksamkeit und Unbedenklichkeit geprüft wurde und die zusätzlich zur bestehenden Standardtherapie mit Riluzol oder bei Versagen der Standardtherapie verabreicht wurden. Darüber hinaus sind beim BfArM zwei weitere Anträge auf Genehmigung einer klinischen Prüfung bei Patientinnen und Patienten mit ALS anhängig. Weitere Informationen zu den Studien finden sich unter den dargestellten Identifikationsnummern der öffentlichen internationalen Studiendatenbank www.clinicaltrials.gov.

Studientitel	Identifikationsnummer clinical trials.gov	Prüfpräparat*
Phase II/III, multicenter, randomized, parallel group, double-blind, placebo controlled study to assess safety and efficacy of TRO19622 in Amyotrophic Lateral Sclerosis (ALS) patients treated with riluzole	NCT00868166	Olesoxine (TRO19622)*
A Multinational, Multicenter, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled, Parallel-Group Study to Assess the Efficacy, Tolerability and Safety of talampanel in Subjects with Amyotrophic Lateral Sclerosis (ALS). ALS-TAL-201-OL is added as an open label extension of the ALS-TAL-201 trial: A Multinational, Multicenter, Open label phase to Assess Tolerability and Safety of Talampanel 50mg tid in Subjects with Amyotrophic Lateral Sclerosis (ALS)	NCT00982150	Talampanel
A Phase II multi-centre, extension study to investigate the long term safety of ONO-2506PO in patients diagnosed with Amyotrophic Lateral Sclerosis (ALS).	NCT00694941	ONO-2506PO
Efficacy, Safety and Tolerability Study of 45 mg Pioglitazone in patients with Amyotrophic Lateral Sclerosis (ALS) receiving standard therapy (Riluzole)	NCT00690118	Pioglitazon

* Studien mit Medikamenten, die für andere neurologische Erkrankungen angewendet worden sind. Hier: Olesoxine – spinale Muskelleitungsstörung; Glatirameracetate - Multiple Sklerose

Studientitel	Identifikationsnummer clinical trials.gov	Prüfpräparat*
A multicentre, randomised, double-blind, placebo-controlled, parallel group study to investigate efficacy and safety of ONO-2506PO compared to placebo in the presence of Riluzole, to patients diagnosed with Amyotrophic Lateral Sclerosis (ALS), who have had onset of muscle weakness within 14 months of randomisation	NCT00403104	ONO-2506PO
A multi-national, multi-centre, randomized, double-blind, placebo-controlled, parallel-group study to assess the efficacy, tolerability and safety of 40 mg glatiramer acetate injection in subjects with amyotrophic lateral sclerosis (ALS)	NCT00326625	Glatiramer acetate *
Randomized, stratified parallel group study on the evaluation of an oral dose of 100 mg Thalidomid (THL) with a subsequent increase in dose up to 400 mg in combination with Riluzol in patients with Amyotrophic Lateral Sclerosis (ALS)	NCT00231140	Thalidomid
A long-term extension to a randomized, double-blind, placebo-controlled, stratified, parallel-group, multicenter, dose-ranging study evaluating four oral doses of TCH346 (1.0, 2.5, 7.5 and 15mg) administered once daily in patients with Amyotrophic Lateral Sclerosis	NCT00230074	TCH346

* Studien mit Medikamenten, die für andere neurologische Erkrankungen angewendet worden sind. Hier: Olesoxine – spinale Muskelatrophie; Glatirameracetate – Multiple Sklerose

21. Teilt die Bundesregierung die Auffassung, dass die Finanzierung eines neuartigen Medikaments zur Behandlung der ALS bzw. zur Linderung der Beschwerden von ALS-Kranken aufgrund der vergleichsweise geringen Fallzahlen für die pharmazeutische Industrie nur von begrenztem Interesse sein dürfte, und wenn nein, aus welchen Gründen nicht?

Die Bundesregierung kann die Geschäftsmodelle für die Entwicklung einzelner Medikamente zu spezifischen Erkrankungen nicht kommentieren. Es gibt jedoch Beispiele für wirtschaftlich sehr erfolgreiche Medikamente für seltene Erkrankungen. Zurzeit sind ca. 60 Medikamente in über 70 Indikationen für die Anwendung bei seltenen Erkrankungen zugelassen. Knapp 800 Wirkstoffe haben eine Orphan-Drug-Designation erhalten und befinden sich daher im Entwicklungsprozess. Darunter befinden sich auch sieben Wirkstoffe zur Anwendung bei ALS.

22. Ist der Bundesregierung bekannt, dass es Firmen gibt, die zwar Ansätze für eine medikamentöse Behandlung von ALS entwickelt haben, diese jedoch nicht weiterverfolgen können, da sie mangels wirtschaftlich interessantem Markt keinen Investor bzw. Partner finden, der bereit ist, die notwendigen, umfassenden klinischen Studien zu finanzieren, und wie gedenkt die Bundesregierung, dieses Problem zu lösen?

Dies ist nicht bekannt, da es auch keine diesbezüglichen Anfragen nach wissenschaftlichen Beratungen im BfArM gegeben hat.

23. Gibt es Überlegungen von Seiten der Bundesregierung, mittels welcher Maßnahmen die Entwicklung eines neuartigen Medikaments zur Behandlung der ALS bzw. zur Linderung der Beschwerden von ALS-Kranken

gefördert werden könnte, und wenn ja, welche Überlegungen werden hier von den zuständigen Stellen des Bundes angestellt?

Aus Sicht der Bundesregierung ist die Klärung der Pathogenesemechanismen eine der wichtigsten Voraussetzungen für die Entwicklung einer kausalen Therapie.

24. Fördert die Bundesregierung die Entwicklung von Hilfsmitteln, die in besonderer Weise für ALS-Patientinnen und -Patienten genutzt werden können, und wenn ja, in welcher Höhe und mit welchen Schwerpunkten?

Soweit dies in der Kürze der zur Verfügung stehenden Zeit recherchierbar ist, fördert die Bundesregierung keine Entwicklung von Hilfsmitteln, die spezifisch die Erfordernisse von ALS-Patientinnen und -Patienten adressieren. Siehe aber Antwort zu Frage 4: Schluckneuroprothese, anwendbar bei diversen Erkrankungen.

25. Ist der Bundesregierung bekannt, inwieweit es in den vergangenen Jahren Erfolge im Rahmen von klinischen Studien mit Medikamenten zur Behandlung der ALS in Deutschland gegeben hat (bitte um Auflistung)?

Ergebnisse klinischer Prüfungen werden von den zuständigen Bundesoberbehörden insbesondere im Rahmen der Bearbeitung von Anträgen auf Zulassung von Arzneimitteln geprüft. Die (Zwischen-)Ergebnisse der acht Studien zur Behandlung von ALS sind teilweise über die bereits genannte Datenbank www.clinicaltrials.gov verfügbar (siehe Tabelle zu Antwort zu Frage 20).

26. Welche Rolle spielt aus Sicht der Bundesregierung die Nutzung von Biobanken zur Erforschung genetischer Ursachen der ALS, und welche gesetzgeberischen Maßnahmen wären gegebenenfalls erforderlich, um die Rahmenbedingungen der Forschung in Deutschland in dieser Frage zu verbessern?
27. Wie bewertet die Bundesregierung den Aufbau eines ALS-Registers für den Bereich Schwaben an der Universität Ulm, und welche Folgen hätte nach Auffassung der Bundesregierung die Umsetzung der Empfehlungen des Deutschen Ethikrates aus dem Jahr 2010 zur Regulierung von Biobanken für das hier eingerichtete Register?

Die Fragen 26 und 27 werden im Zusammenhang beantwortet.

Derzeit werden in einzelnen Regionen Deutschlands (Rheinland-Pfalz, Region Schwaben, Nordrhein-Westfalen) bevölkerungsbasierte Register zur Erfassung aller ALS-Erkrankungen aufgebaut und auch ein deutschlandweites Register ist geplant. Diese Register werden in einigen Jahren wahrscheinlich eine exaktere Abschätzung der Häufigkeit von ALS in Deutschland ermöglichen. Bevölkerungsbezogene epidemiologische Daten zur Inzidenz und Prävalenz sind u. a. eine Basis für die Planung klinischer Studien.

Biomaterialbanken und klinische Register sind grundsätzlich ein unverzichtbares Instrument der krankheits- und patientenorientierten Forschung. Klinische Register erlauben die Beschreibung des Krankheitsverlaufs, die Identifizierung von Untergruppen und bilden ggf. eine Basis für die Identifizierung von krankheitsassoziierten Genvarianten und die Beschreibung von Genotyp-Phänotyp-Korrelationen.

Die Bundesregierung sieht derzeit keine Notwendigkeit zu weiteren gesetzlichen Initiativen für den Bereich der Forschung. Im Gesetzgebungsverfahren zum Gendiagnostikgesetz hat die Bundesregierung dies unter Hinweis auf die bestehende Rechtslage, insbesondere die Datenschutzgesetze von Bund und Ländern sowie die vorherige Befassung von Ethikkommissionen, sowie unter Hinweis auf die laufende Diskussion auf nationaler wie auf internationaler Ebene begründet (siehe dazu im Einzelnen auf Bundestagsdrucksache 16/10582 „Zu Nummer 1a“). Die Bundesregierung wird den gesetzgeberischen Handlungsbedarf kontinuierlich prüfen.

28. Ist der Hinweis in der Antwort des Bundesministeriums für Bildung und Forschung auf die Schriftliche Frage 120 der Abgeordneten Birgitt Bender vom 8. Juni 2010 auf Bundestagsdrucksache 17/2060, laut der „voraussichtlich Anfang 2011“ die Möglichkeit bestehen wird, Anträge für die Förderung zu ALS einzureichen, dahingehend zu verstehen, dass ab 2011 über das Gesundheitsforschungsprogramm entsprechende Maßnahmen gefördert werden können?

Am 15. Februar 2011 endet die Abgabefrist für Forschungsanträge im Rahmen des Förderschwerpunkts für seltene Erkrankungen des Gesundheitsforschungsprogramms. Im Übrigen wird auf die Antwort zu Frage 15 verwiesen. Weitere Informationen für Antragsteller finden sich unter www.gesundheitsforschung-bmbf.de/de/2504.php.

29. Hält es die Bundesregierung für erforderlich, die Nutzung von krankheitsspezifischen Stammzelllinien in Deutschland zuzulassen, damit Forscherinnen und Forscher auf diesem Wege die Krankheitsmechanismen zu untersuchen und/oder um mögliche Ansatzpunkte für neue Arzneimittel zu entdecken?

Krankheitsspezifische Stammzelllinien können embryonale Stammzelllinien (ES) oder induzierte pluripotente Stammzellen (IPS) sein.

Die Forschung mit patientenspezifischen humanen iPS-Zellen ist in Deutschland erlaubt; für hES-Zellen gelten die strengen Anforderungen des Stammzellgesetzes. Mit der am 21. August 2008 in Kraft getretenen Novelle des Stammzellgesetzes hat der Gesetzgeber diese Rechtslage erneut bestätigt.

30. Wie viele Stammzelllinien (embryonale Stammzelllinien, induzierte pluripotente Stammzelllinien) zur Erforschung der ALS stehen weltweit zur Verfügung (bitte um tabellarische Übersicht)?

In der Vergangenheit wurden mehrere verschiedene humane pluripotente Stammzell-Linien, vor allem humane embryonale Stammzellen (hES-Zellen), im Rahmen mehrerer Studien in Motoneuronen, dem von ALS betroffenen Zelltyp, differenziert. Solche humanen Motoneuronen können dann prinzipiell zur Untersuchung von Aspekten der ALS geeignet sein.

Derzeit existieren nach Kenntnis der Bundesregierung jedoch keine humanen ES-Zell-Linien, die eine Mutation im SOD1-Gen bzw. in anderen gegebenenfalls mit ALS in Zusammenhang stehenden Genen tragen. Die einschlägigen hES-Zell-Register (beispielsweise hES-Zell-Register der EU, hESReg (www.hesreg.eu) oder das Stammzellregister der University of Massachusetts Medical School (www.umassmed.edu/iscr/index.aspx)) enthalten keine Hinweise auf die Existenz derartiger hES-Zell-Linien.

Ein Register, in dem alle oder auch nur ein Großteil der derzeit existierenden induzierten pluripotenten Stammzell-Linien (hiPS-Zell-Linien) zusammengefasst sind, existiert gegenwärtig nicht.

31. Ist der Bundesregierung bekannt, ob und wenn ja, wie viele Untersuchungsprojekte deutsche Forscherinnen und Forscher in der ALS-Forschung mittels iPS-Zellen (Stammzellen) beantragt bzw. durchgeführt haben?

Die Bundesregierung kann hier nur Auskunft geben über von ihr selbst geförderte Forschungsprojekte. Im Rahmen der Forschungsförderung des BMBF wird im ERA-Net NEURON zurzeit ein Projekt zur ALS mittels iPS-Zellen durchgeführt. Siehe dazu Antwort zu Frage 6, Projekt „Modelle der sporadischen ALS basierend auf genetischer Umprogrammierung von Patientenfibroblasten“.

32. Plant die Bundesregierung, die Forderung der Initiative Therapieforschung ALS umzusetzen und – angesichts der in Deutschland bestehenden Defizite in der ALS-Forschung – ein Förderprogramm für die ALS-Therapieforschung mit einer Laufzeit von 10 Jahren und einem Fördervolumen von mindestens 10 Mio. Euro jährlich zu verabschieden, und wenn nein, aus welchen Gründen nicht?

Es wird auf die Antwort zu den Fragen 10 und 13 verwiesen.

33. Hält die Bundesregierung die Einrichtung und Finanzierung einer Koordinierungsstelle, die die internationale Entwicklung der ALS-Forschung kontinuierlich beobachtet, auf dieser Grundlage Gelder für Forschungsprojekte und klinische Studien auch in Deutschland bereitstellt und internationale Kooperationen und die Zusammenarbeit mit Privatfirmen einbezieht, für sinnvoll, und wenn nein, aus welchen Gründen nicht?

Es wird derzeit europaweit schon viel für die koordinierte Forschung von seltenen Erkrankungen und damit auch von ALS getan. Gemeinsame Förderaktivitäten für seltene Erkrankungen erfolgen beispielsweise durch das ERA-Netz E-RARE, das Fördergelder für Forschungsprojekte in den einzelnen Mitgliedsstaaten, auch in Deutschland, zur Verfügung stellt und internationale wissenschaftliche Kooperation zu seltenen Erkrankungen fördert. An diesen Kooperationen können sich, je nach nationalen Förderrichtlinien, auch Privatfirmen beteiligen. Im Rahmen von E-RARE hat sich die Arbeit in den multilateralen wissenschaftlichen Netzwerken sehr bewährt und soll nunmehr in einer zweiten Phase fortgeführt werden. Des Weiteren wird die Erforschung neurologischer Erkrankungen im Rahmen des ERA-Nets NEURON und speziell von neurodegenerativen Erkrankungen auch im Rahmen der Joint Programming Initiative JPND europaweit koordiniert. Daher wird zum jetzigen Zeitpunkt die Etablierung von einzelnen Zentren als Koordinatoren der europaweiten ALS-Forschungsförderung als nicht notwendig erachtet.

34. Welche Projekte im Rahmen des Deutschen Zentrums für Neurodegenerative Erkrankungen (DZNE) in der Helmholtz-Gemeinschaft lassen sich der Erforschung der ALS zuordnen?

Das DZNE wurde 2009 gegründet und befindet sich noch in der Aufbauphase. Nachdem die organisatorischen Strukturen etabliert sind, wird nun die wissenschaftliche Strategie des Zentrums umgesetzt. Eine der Hauptaufgaben des

DZNE ist die Erforschung der molekularen Mechanismen der verschiedenen neurodegenerativen Erkrankungen. Das DZNE hat sich in der Aufbauphase zunächst auf häufig vorkommende neurodegenerative Erkrankungen (z. B. Morbus Parkinson und Morbus Alzheimer) konzentriert. Daneben beschäftigt sich das DZNE auch mit seltenen neurodegenerativen Erkrankungen wie Ataxien, Huntington oder Prionerkrankungen. Laufende Projekte zur ALS gibt es derzeit am DZNE noch nicht.

Große wissenschaftliche Expertise auf dem Gebiet der ALS besteht an der Universität Ulm, mit der das DZNE eine enge Zusammenarbeit plant. Es ist geplant, im Rahmen der Kooperation mit der Universität Ulm diesen Forschungsbereich so bald wie möglich zu initiieren.

35. Gibt es aktuell Pläne, die Zahl der Projekte zur Erforschung der ALS im Rahmen des DZNE auszuweiten, und wenn ja, mit welcher Zielrichtung?

Es wird auf die Antwort zu Frage 34 verwiesen.

36. Wie hoch ist der Anteil am Gesamtbudget des DZNE (in Höhe von 66 Mio. Euro pro Jahr), der für die Erforschung der ALS aufgewendet wird?

Es wird auf die Antwort zu Frage 34 verwiesen.

37. Hält es die Bundesregierung für sinnvoll und erforderlich, dem DZNE zusätzliche Finanzmittel zur Verfügung zu stellen, damit sich die Einrichtung noch stärker der Erforschung der ALS widmen kann, und wenn nein, aus welchen Gründen nicht?

Es wird auf die Antwort zu Frage 34 verwiesen.

38. Im Rahmen welcher (internationaler) Kooperationsprojekte arbeitet das DZNE an der Erforschung der ALS?

Es wird auf die Antwort zu Frage 34 verwiesen.

