



Genzyme GmbH, Postfach 13 01, D - 63233 Neu-Isenburg

Herrn
Pascal Niemeyer
Gaucher Gesellschaft Deutschland e. V.
Ferschweiler Straße 15

54668 Holsthum

Neu-Isenburg, 01.03.2010

unser Zeichen: HPS

Durchwahl: -730

e-mail: mirjam.bein@genzyme.com

web: www.genzyme.de

Beantwortung der Fragen GGD/Gaucher-Patienten

Sehr geehrter Herr Niemeyer,

wie besprochen, übersenden wir Ihnen die Antworten auf Ihre Fragen zu den Lieferverzögerungen.

Wir hoffen Ihnen hiermit eine Unterstützung geben zu können, um Fragen von Gaucher-Patienten beantworten zu können.

Sollte hier noch weiterer Bedarf bestehen, so stehen wir jederzeit gerne zur Verfügung.

Mit freundliche Grüßen

Genzyme GmbH

Martina Ochel
Geschäftsführerin

i. V. Dr. Hans-Peter Schulz
Direktor

Lysosomale Speicherkrankheiten



Antworten Gaucher Gesellschaft Deutschland e. V.

Block I - Fragen zu den Auswirkungen für die Patienten

Frage: 1

Was bedeutet die Reduzierung für die einzelnen Patienten, insbesondere für jene, die während der letzten Monate kein Cerezyme bekommen haben? Bekommen jetzt alle Patienten 50% der individuell erforderlichen Infusionsmenge oder müssen manche Patienten, obwohl sie bereits seit Mai 2009 keine Infusionen mehr erhalten haben, wieder ihre Therapie komplett aussetzen? Manche Patienten, gerade die mit einer milden Erkrankung, haben bereits heute deutliche medizinische Probleme und sind beängstigt, dass sie unter Umständen „wieder“ nichts erhalten werden?

Antwort Genzyme

Alle Patienten, die an deutlichen medizinischen Problemen leiden bzw. das Gefühl haben, dass sich deren Krankheitsbild verschlechtert, empfehlen wir, sehr schnell einen Arzt bzw. das entsprechende Gaucher-Zentrum aufzusuchen, um dies umfassend abklären zu lassen.

Wir haben am Donnerstag vergangener Woche die Gaucher-Zentren sowie die behandelnden Ärzte über die aktuelle Liefersituation informiert. Mit einer 50prozentigen Reduzierung des weltweiten Bedarfs an Cerezyme möchte Genzyme sicherstellen, dass wir nach dieser Periode zwischen 22. Februar bis 16. April wieder planmäßig liefern können. Dies können wir nur gewährleisten, wenn alle Ärzte dies entsprechend umsetzen.

Frage: 2

Wie stellt sich die Situation für die sehr schwer betroffenen erkrankten Patienten bzw. den Kindern und Typ III Erkrankten dar? Bekommen diese auch weiterhin die volle Dosis?

Antwort Genzyme

Wir als Firma dürfen Ihnen keine Behandlungsempfehlungen geben, stehen aber selbstverständlich im engen Kontakt mit unseren Experten und behandelnden Zentren. Wir raten diesen Patienten jedoch auf jeden Fall, mit dem Gaucher-Zentrum Kontakt aufzunehmen, um die für sie richtige medizinische Versorgung abzuklären und auch sicherzustellen.

Frage 3

Wer entscheidet darüber, dass einige Patienten die volle Dosis erhalten, manche aber nur eine geringere und andere wiederum gar keine Infusion erhalten?

Antwort Genzyme

Darüber entscheiden nur die Gaucher-Zentren.

Frage 4

In wie weit ist gewährleistet, dass wirklich die Personen das zur Verfügung stehende Cerezyme bekommen, die es „dringend“ benötigen? Sollte bei einer 50prozentigen Lieferreduzierung dann doch noch etwas verbleiben, wird das dann an die übrigen Patienten ausgegeben werden? Wie erfahren die Patienten davon?

Antwort Genzyme

Wir bauen bei dieser 50prozentigen Reduktion auf die Zusammenarbeit und die Unterstützung aller Beteiligten – nur so können wir sicherstellen, dass wir wirklich alle Patienten versorgen können. Wir werden in den nächsten Wochen in sehr engem Austausch mit den Experten stehen. Derzeit gehen wir nicht davon aus, dass wir Produkt übrig haben werden. Sollte dies jedoch der Fall sein, werden die Experten darüber entscheiden, wie wir hier für die Patienten am besten vorgehen sollen.

Frage 5:

Aufgrund der, zumindest aus Sicht der Patienten, anhaltenden Unsicherheiten über die zukünftige Versorgung mit Cerezyme und der in den letzten Monaten ständig wechselnden Prognosen bezüglich einer Normalisierung der Therapierung, leiden viele Patienten unter teils starken psychischen Belastungen. (Zitat einer Patientin „Alle paar Wochen bekomme ich eine neue „schlechte“ Nachricht... irgendwie kommt dann alles wieder ins Gedächtnis zurück, wie es vor der Infusion mit mir war.“) Was raten Sie diesen Patienten? Welche Möglichkeiten haben Sie als pharmazeutisches Unternehmen, diese Patienten zu unterstützen?

Antwort Genzyme

Es ist auch unser größtes Bestreben, alle Patienten so schnell wie möglich wieder wie gewohnt zu versorgen. Auch uns haben seit Beginn des Lieferengpasses viele Patienten angesprochen und uns ihre Ängste und Sorgen mitgeteilt. Daher wissen wir sehr gut, wie schwierig diese Situation für Patienten und Angehörige ist. Wir bemühen uns und haben auch in den vergangenen Monaten alles daran gesetzt, mit dieser Situation so gut wie möglich für alle Betroffenen umzugehen. Dass dies ein sehr schwieriges Unterfangen war und ist, darüber sind wir uns im Klaren. Die Wiederaufnahme der Vollversorgung ab Januar 2010 haben wir in bester Absicht, aber auch zu dieser Zeit mit voller Überzeugung, getroffen: Wir wollten alle Patienten unbedingt wieder mit ihrem benötigten Medikament versorgen. Heute müssen wir leider feststellen, dass wir, aufgrund vieler komplexer Faktoren, die Versorgung um 50 Prozent in der Zeit zwischen 16. Februar und 22. April reduzieren müssen. Dadurch können wir den für die künftige planmäßige und nachhaltige Versorgung so wichtigen Lagerbestand aufbauen. Wir raten allen Patienten, vor allem aber sehr schwer Betroffenen, Kindern und Typ-III Patienten, zur Beurteilung ihrer medizinischen Situation unbedingt Kontakt mit ihrem Gaucher-Zentrum aufzunehmen.

Um die Auslieferung von bestellter Ware möglichst reibungslos abzuwickeln, werden die Patienten gebeten, sofort, nach erfolgter Infusion, das Rezept für die nächste Infusion ausstellen zu lassen und dies auch sogleich in der Apotheke einzulösen. So wollen wir versuchen, die Versorgung aller Patienten in den kommenden 8 Wochen sicherzustellen.

Block II - Fragen zur Entscheidung das Angebot um 50% zu reduzieren

Frage 1

Auf welcher Grundlage hat Genzyme Ende November/Anfang Dezember 2009 den Patienten in Aussicht gestellt, dass der 100prozentige Bedarf an Cerezyme ab Anfang Januar 2010 wieder gedeckt werden kann?

Antwort Genzyme

Die Produktion von Cerezyme ist vergangenes Jahr sehr gut wieder angelaufen, wir haben hier sehr gute Ausbeuten erzielt. Aufgrund von Berechnungen basierend auf dem Bedarf vor dem Lieferengpass konnten wir zu der Zeit davon ausgehen, dass der weltweite Bedarf von Cerezyme gedeckt werden kann.

Frage 2

Bitte erläutern Sie uns die Gründe für die unbedingte Notwendigkeit, einen kleinen Vorrat aufbauen zu müssen. Zum jetzigen Zeitpunkt ist dies für die Patienten nicht nachvollziehbar.

Antwort Genzyme

In den ersten Wochen des Jahres kam es immer wieder zu Lieferverzögerungen, Infusionstermine mussten abgesagt oder verschoben werden. Diese Unsicherheit, sowohl für Patienten, als auch für die behandelnden Ärzte, wollen wir abstellen. Wir wollen den Patienten und Ärzten Planungssicherheit und Gewissheit geben, um die Infusionen, wie vom Arzt terminiert, durchführen zu können. Diese Planungssicherheit und diese Gewissheit können wir jedoch nur gewährleisten, wenn wir einen kleinen Lagerbestand aufbauen, um Bestellungen flexibel und termingerecht ausliefern zu können.

Frage 3

Warum hat sich Genzyme dazu entschlossen, ausgerechnet jetzt kurz nach den ersten Auslieferungen das Angebot zu reduzieren? Dies ohne zu wissen, ob sich die Patienten von der zwangsläufigen mehrmonatigen Therapiepause und der damit einhergehenden Gesundheitsverschlechterung (z.B.: Blutwerte, Organe, Knochenbefund) wieder erholt haben.

Antwort Genzyme

Diese Entscheidung wurde aufgrund zahlreicher Rückmeldungen von Patienten und Ärzten weltweit getroffen, die uns berichteten, dass die Lieferverzögerungen unzumutbar waren und es zu Ungleichverteilungen selbst bei schwer betroffenen Patienten kam.

Wir sind uns bewusst, dass diese Entscheidung eventuell nur schwer nachzuvollziehen ist, denken jedoch, dass es in dieser Situation die beste Entscheidung ist, um möglichst bald wieder eine reibungslose Liefersituation herstellen zu können. Unter den gegebenen Umständen ist die Entscheidung aus unserer Sicht die beste Lösung, um bald möglichst wieder alle Patienten ausreichend mit Medikament zu versorgen

Jedoch sehen wir es ohne den Aufbau des kleinen Lagerbestandes als Puffer als unmöglich an, die für alle Beteiligten unzumutbaren Lieferverzögerungen in den Griff zu bekommen.

Frage 4

Gab es alternative Maßnahmen zur Vermeidung der derzeitigen Reduzierung des Angebotes um 50%? Wenn ja, welche und warum wurden sie verworfen?

Antwort Genzyme

Die schlechteste Alternative wäre gewesen, wie wir ja in den letzten Wochen bei den immer wieder auftretenden Lieferverzögerungen gesehen haben, so wie bisher weiter zu verfahren. Damit wäre es jedoch weiter zu ungerechten und unzumutbaren Ungleichverteilungen gekommen. Diese Unsicherheit für alle Beteiligten wollten wir keinesfalls aufrechterhalten.

Frage 5:

Als einer der Gründe für den Lieferverzug wurden vor kurzem Abfüllprobleme in der Abfüll- und Verpackungsanlage in Waterford (Irland) aufgeführt. Sofern dies zutrifft, warum wurde nicht die Zeit im letzten Halbjahr 2009 dazu genutzt, diese Schwierigkeiten vor dem Lieferbeginn im Januar 2010 zu beheben?

Antwort Genzyme

Mit Wiederaufnahme der Produktion wurden die Qualitätsstandards sowohl in der Produktion als auch in der Abfüllung verbessert. Auch die Qualitätskontrollen wurden erhöht, was zu längeren Freigabezeiten führt. Hinzu kommen die erwähnten Logistikprobleme, weshalb es zu den schwer erträglichen Lieferverzögerungen zu Beginn des Jahres gekommen ist.

Diese haben wir unternommen, um künftig die Produktion und Abfüllung und damit letztlich auch die Versorgung zu verbessern.

Diese Faktoren haben alle dazu geführt, dass es in der Konsequenz zu den schwer erträglichen Lieferverzögerungen zu Beginn des Jahres gekommen ist. Da diese Prozesse jedoch alle zum Teil parallel und vor allem erst vor kurzem angelaufen sind bzw. initiiert wurden, sind deren Auswirkungen entsprechend erst in den vergangenen Wochen sicht- und spürbar geworden.

Frage 6

Was wurde unternommen, um die dortigen Probleme in den Griff zu bekommen?

Antwort Genzyme

Es handelt sich nicht um Abfüllprobleme, sondern um eine Verbesserung der Qualitätsstandards in der Produktion und Abfüllung. Die Auswirkungen dieser Verbesserung der Qualitätsstandards wird in den künftigen Produktionsläufen sichtbar werden und wir können so einen weiter verbesserten Produktionsprozess gewährleisten.

Frage 7:

Warum hat Genzyme nicht umgehend nach dem Lieferengpass, im Dezember 2009, das Angebot für eine Dauer von ca. 6 – 8 Wochen reduziert? Damit hätte man den Patienten eine weitere große Enttäuschung erspart.

Antwort Genzyme

Wir sind uns dessen bewusst, dass wir vielen Patienten seinerzeit Hoffnung gegeben haben. Wir selbst waren und konnten zu diesem Zeitpunkt auch überzeugt sein, dass wir alle Patienten wieder optimal versorgen können. Darum haben wir die Wiederaufnahme der Vollversorgung im Januar 2010 auch in bester Absicht getroffen. Leider konnten wir zu dieser Zeit nicht absehen, dass es in Folge zu den bereits erwähnten unzumutbaren Lieferverzögerungen kommen würde.

Block III - Fragen zur Kommunikation

Frage 1

Bislang hat Genzyme die Patienten über die neue Situation zur Auslieferung von Cerezyme noch nicht informiert. Viele Patienten wurden auch nicht durch den Apotheker oder den behandelnden Arzt informiert. Viele Patienten haben heute noch gar keine Kenntnisse über die neuen Einschränkungen. Warum wendet sich Genzyme nicht direkt an die Betroffenen um zu gewährleisten, dass alle Patienten gleichermaßen informiert sind? Eine Vielzahl der Patienten bekommt doch auch sonst (z.B. über den LysoSolutions-Club oder über die Aktionstage) in normalen Zeiten ausreichend Informationen. (Zitat einer Patientin: „Wie soll das Vertrauen zu Genzyme wieder hergestellt werden, wenn die Patienten, die es in erster Linie betrifft, als Letzte informiert werden“)

Antwort Genzyme

Wir wurden vergangenen Mittwoch intern über die Liefersituation von Cerezyme informiert. Bevor wir die medizinischen Fachkreise informieren, stimmen wir uns mit den Behörden, in der Regel mit der europäischen Zulassungsbehörde ab. Daran schloss sich die Kommunikation mit Zentrums-Ärzten, Behandlern und Apothekern an. Auch die Gaucher Gesellschaft Deutschland wurde zu diesem Zeitpunkt bereits informiert. Wir haben dann Mitte dieser Woche einen Brief an die Patienten geschickt, um auf die entsprechende Information auf unserer Firmenwebsite hinzuweisen. Wie Sie ja wissen, dürfen wir als pharmazeutisches Unternehmen nicht direkt an die Patienten herantreten und über Medikamente informieren, auch im LysoClub ist uns dies untersagt.

Wir sind uns aber im Klaren darüber, dass gerade in solch einer Situation eine zeitnahe Information – im Rahmen der rechtlichen Möglichkeiten selbstverständlich – auch für die Patienten extrem wichtig ist. Dies hat in der vergangenen Woche sicher nicht optimal geklappt, was wir auf interne Prozesse im Haus zurückführen und an denen wir derzeit verstärkt arbeiten.

Uns ist es in dieser Situation aber auch sehr wichtig, dass Patienten bei ihrem Arzt über die Situation informiert werden, damit dieser gleich die notwendigen Therapieschritte und das weitere Vorgehen mit dem Patienten besprechen und abklären kann. Der Arzt sollte nach wie vor der erste Ansprechpartner für den Patienten sein.

Frage 2

In den letzten Wochen mussten die Patienten, so sie denn überhaupt informiert wurden, eine Vielzahl von verschiedenen Gründen über unterschiedliche Ursachen der derzeitigen Lieferverzögerung hören (Mal war es ein Verpackungsproblem, dann ein logistisches Problem, später ein Qualitätsprüfungsproblem). Bitte erläutern Sie uns welche Probleme, wann bzw. wie, zu der derzeitigen Situation geführt haben.

Antwort Genzyme

Die Gründe, die zu den Lieferverzögerungen und letztlich zur 50prozentigen Reduktion geführt haben, sind in der Tat sehr vielschichtig. Mit Wiederaufnahme der Produktion im vergangenen Jahr wurden die Qualitätsstandards sowohl in der Produktion, als auch in der Abfüllung verbessert. Auch die Qualitätskontrollen wurden erhöht, was die längeren Freigabezeiten zur Folge hatte. Dies alles wurde unternommen, um den gesamten Produktionsablauf zu optimieren. Zu diesen zeitlichen Verzögerungen kamen dann die logistischen Probleme.

Diese Faktoren haben aber alle auch dazu geführt, dass es in der Konsequenz zu den nur schwer erträglichen Lieferverzögerungen zu Beginn des Jahres gekommen ist. Denn diese oben genannten Prozesse sind alle zum Teil parallel und vor allem erst vor kurzem angelaufen bzw. initiiert worden, so dass deren Auswirkungen entsprechend erst in den vergangenen Wochen sicht- und spürbar geworden sind.

Frage 3

Was wurde unternommen, um diese Probleme in den Griff zu bekommen?

Antwort Genzyme

Letztlich haben wir nach Wiederaufnahme der Produktion alles unternommen, um die Qualitätsstandards für die Produktion und Abfüllung zu erhöhen und so künftig den gesamten Prozess weiter zu verbessern.

Frage 4

Manche Patienten empfinden die Informationspolitik der Fa. Genzyme als sehr unbefriedigend. (Zitat eines Patienten: „Eine Hinhaltetaktik, mit dem Ziel die Patienten immer wieder zu vertrösten. Dies untergräbt das Vertrauensverhältnis zu Genzyme vollends. Sie ist schlicht unerträglich“). Könnten Sie hierzu bitte Stellung nehmen und uns gegebenenfalls erläutern, was das Unternehmen gedenkt zu veranlassen um den zukünftigen Informationsfluss zu den Patienten zu verbessern.

Antwort Genzyme

Wir sind uns im Klaren darüber, dass gerade in solch einer Situation, eine zeitnahe Information – im Rahmen der rechtlichen Möglichkeiten selbstverständlich – auch für die Patienten extrem wichtig ist. Dies hat in der vergangenen Woche sicher nicht optimal geklappt, was wir auf interne Prozesse im Haus zurückführen und bitten dies zu entschuldigen.

Darüber hinaus stehen wir jedoch in engem Kontakt mit den Zentren sowie den behandelnden Ärzten und mit der GGD. Letztere setzt alles daran, tagesaktuell alle Neuigkeiten auf ihrer Internetseite zur Verfügung zu stellen. Wir möchten an der Stelle auch darauf hinweisen, dass die GGD auch wesentlich mehr Möglichkeiten hat, detailliert über die derzeitige Situation zu berichten, als uns dies als pharmazeutischer Hersteller aus rechtlichen Gründen erlaubt ist. Weil wir sehr daran interessiert sind, dass die Patienten umfassend informiert werden, werden wir auch den intensiven und engmaschigen Austausch mit der GGD in den nächsten Wochen, aber auch darüber hinaus aufrecht erhalten. Wir können alle Patienten nur ermutigen, Fragen und Probleme an die GGD zu stellen und zu diskutieren.