

## **Vorbereitung auf kostspielige Gentherapie dringend notwendig**

### **DGM lud Neuropädiater zur gemeinsamen Sitzung und Definition eines möglichen Behandlungsablaufs**

Durch den dramatischen Aufruf einer Familie für ihren kranken Sohn und die breite Unterstützung in der Öffentlichkeit übernimmt jetzt die Krankenkasse die Behandlungskosten für den kleinen Michael. Wie er kommen jedes Jahr jedoch weitere betroffene Babys zur Welt, doch für sie gibt es noch keine Entscheidung, ob und wie eine Behandlung stattfinden kann. Vielmehr ist die Zulassung von Zolgensma® zur Gentherapie bei Spinaler Muskelatrophie (SMA) durch die European Medicines Agency (EMA) vom Pharmaunternehmen beantragt. Der Zeitpunkt einer Genehmigung ist noch nicht vorhersehbar.

Der rettende Wirkstoff Zolgensma® hat bei der amerikanischen Arzneimittelbehörde (FDA) bereits erfolgreich den Zulassungsprozess durchlaufen. Seit dem 24. Mai 2019 ist die Therapie von Kindern bis zum Alter von zwei Jahren in den USA möglich. Zolgensma® wird mit einem Preis von knapp unter zwei Millionen Euro in die Apotheken kommen. Neben dem hohen Medikamentenpreis gibt es aber zahlreiche medizinische, wirtschaftliche und infrastrukturelle Herausforderungen, die auf die Behandler, Patienten und das gesamte Gesundheits- und Versorgungssystem zukommen.

Um diesen Problemen vorbereitet zu begegnen, haben sich auf Initiative der Deutschen Gesellschaft für Muskelkranke (DGM), der größten und ältesten deutschen neuromuskulären Patientenorganisation, die neuropädiatrischen Vertreter der potentiellen deutschen Behandlungszentren und Vertreter des medizinischen Beirats der DGM bereits am 21. August 2019 in Frankfurt/Main getroffen. Gemeinsam stimmten sich die Mediziner über die obligaten Qualitätskriterien für entsprechende Therapiezentren ab.

Im Konsens wurde ein Behandlungsablauf zur Betreuung der Kinder vor, während und nach der Applikation definiert. Die zunächst eher trivial scheinende intravenöse Therapie erfordert aus medizinischen, wissenschaftlichen, infrastrukturellen, organisatorischen und sozialen Gesichtspunkten ein sehr komplexes und zeitintensives Zusammenspiel von Behandlung, Versorgung, Pflege, Dokumentation und Beratung. Die definierten Qualitätskriterien der Behandlungsbedingungen erfüllen etwa 10-15 deutsche Therapiezentren. Ein wesentliches Anliegen der Kinderneurologen ist es, eine allgemein anerkannte und einheitliche Verlaufsdocumentation verpflichtend zu vereinbaren, um so dringend notwendige medizinische Langzeitdaten für dieses therapeutische Neuland zu sammeln.

Die neue Therapie erfordert außerdem eine neue Versorgungsform, die bislang in den Finanzierungsstrukturen der Krankenkassen noch nicht geklärt ist. Der Planungs-, Vor- und

Nachsorgeaufwand wird außergewöhnlich hoch und für Neuromuskuläre Zentren ohne adäquate Zusagen der Krankenkassen zur Übernahme der Kosten für Medikament, Behandlung und insbesondere personelle Betreuung nicht machbar sein.

Die erforderlichen Aufwendungen im Behandlungsprozess werden nun mit aktuellen Kostendaten belegt, um die notwendige Finanzierungspauschale möglichst genau festlegen zu können und mit den Krankenkassen Regelungen zu treffen.

Insgesamt wurde die enorme Wichtigkeit und Aktualität eines gemeinsamen Vorgehens für die Zolgensma®-Therapie unter den Ärzten, Behandlungszentren sowie Patientenvertretern, wie die Deutsche Gesellschaft für Muskelkranke (DGM), betont.

Schon am 14. September veranstaltet die Patientenorganisation DGM einen Fachtag für betroffene Patienten zum aktuellen Thema in Düsseldorf, bei dem auch die Vertreter der Pharmaunternehmen in einer moderierten Diskussion teilnehmen.

**Die Deutsche Gesellschaft für Muskelkranke (DGM) mit Sitz in Freiburg ist mit über 8600 Mitgliedern die größte und älteste deutsche Selbsthilfeorganisation für Menschen mit neuromuskulären Erkrankungen. Seit über 50 Jahren fördert die DGM die Erforschung der mehr als 800 verschiedenen heute bekannten, teilweise sehr seltenen Muskelerkrankungen. Eine wichtige Aufgabe der DGM ist auch die Beratung und Unterstützung von Betroffenen und ihren Angehörigen in ihrem Alltag. Über Muskelerkrankungen zu informieren und die Interessen von muskelerkrankten Menschen gesundheitspolitisch zu vertreten, sind weitere zentrale Anliegen der Selbsthilfeorganisation.**

**Weitere Informationen erhalten Sie bei:**

Deutsche Gesellschaft für Muskelkranke e.V. (DGM)  
Patricia Habel-Steigner  
Telefon +497665 94470  
patricia.habel-steigner@dgm.org  
www.dgm.org  
Postadresse:  
Im Moos 4, 79112 Freiburg