

European Medicines Agency
PO Box 71010
1008 BA Amsterdam
The Netherlands

Freiburg, 7.10.2019

Zulassung von Onasemnogene Abeparvovec-xioi (Zolgensma®) Hersteller Novartis

Sehr geehrte Damen und Herren,

zunächst möchten wir uns für ihre Arbeit bedanken, durch die es möglich wird, dass sichere und wirksame Medikamente die Patienten in Europa rechtzeitig erreichen.

Wir wenden uns heute an Sie wegen der folgenden Angelegenheit.

Sehr oft kommt es jedoch vor, dass innovative Medikamente von der FDA einige Monate früher zugelassen werden als von Ihrer Behörde. Das stellt normalerweise kein Problem dar, da viele Firmen in Europa Härtefallprogramme beantragen, damit Patienten mit besonderem Bedarf auch hier so früh wie möglich mit Medikamenten versorgt werden können.

Aktuell sind dadurch jedoch in Deutschland große Probleme entstanden. Das Medikament onasemnogene abeparvovec-xioi (Zolgensma®) der Firma Novartis wurde in den USA bereits am 24.05.2019 für die Behandlung der Spinalen Muskelatrophie bis zum Alter von 2 Jahren zugelassen.

Die Firma Novartis hat nicht die Absicht, ein Härtefallprogramm in Deutschland zu beantragen, unter anderem weil in Deutschland das Medikament Nusinersen (Spinraza®) der Firma Biogen für die gleiche Indikation zur Verfügung steht.

Nun hat der Fall eines 13 Monate alten Jungen bundesweit große Aufmerksamkeit erregt. Die Eltern haben ein Therapieversagen von Nusinersen reklamiert. Sie haben versucht, mit einer bundesweiten Spendensammlung Geld für eine Behandlung in den USA zu sammeln. Bevor dieses Ziel erreicht wurde, hat die Krankenkasse die Kostenübernahme für eine Behandlung in Deutschland genehmigt.

Unglücklicherweise ist durch Aussagen in der Presse der Eindruck entstanden, dass auch Kinder, die bereits Symptome der SMA zeigen, durch onasemnogene abeparvovec-xioi geheilt werden könnten.

Uns ist selbstverständlich bekannt, dass der Erfolg der Behandlung unter anderem davon abhängt, wie weit fortgeschritten die Erkrankung ist. Der größte Behandlungserfolg ist sicherlich bei präsymptomatisch behandelten Kindern zu erwarten.

Bei Eltern in der gleichen Situation, denen das Medikament nicht zur Verfügung steht, ist dadurch eine erhebliche Beunruhigung und ein großer emotionaler Druck entstanden. Es besteht das Gefühl, nicht alles Menschenmögliche für das eigene Kind zu tun. Auch der Druck auf die behandelnden Ärzte wächst, weitere Einzelfallanträge zu stellen. Dem setzt das deutsche Gesundheitswesen jedoch enge Grenzen.

Wir als deutsche Patientenorganisation bitten Sie sehr, in dieser schwierigen Situation zeitnah zu einer Entscheidung über die Zulassung von onasemnogene abeparvovec-xioi zu kommen.

Mit freundlichen Grüßen

Dr. jur. Stefan Perschke

Vorsitzender der DGM e.V.

Dr. med. Inge Schwersenz

Gründerin der Initiative SMA