



Liebe SMA-Community,

auf Ihren Wunsch nach entsprechender Information freuen wir uns, Ihnen mitzuteilen, dass die Europäische Kommission Spinraza® (Nusinersen) am 30. Mai 2017 die Zulassung zur Behandlung der 5q-assoziierten spinalen Muskelatrophie (5q-SMA) erteilt hat. Die 5q-SMA ist die häufigste Form der SMA. Auf sie entfallen ca. 95 Prozent aller SMA-Fälle. Nusinersen ist die erste medikamentöse SMA-Therapie, die in der Europäischen Union (EU) zugelassen wurde. Die Prüfung von Nusinersen durch die Europäische Arzneimittel-Agentur (EMA) erfolgte im Rahmen eines beschleunigten Beurteilungsverfahrens, das den Zweck hat, Patienten mit ungedecktem Behandlungsbedarf einen schnelleren Therapiezugang zu ermöglichen.

Die Zulassung basiert hauptsächlich auf den Daten zweier zulassungsrelevanter kontrollierter Studien, nämlich der Studie ENDEAR (infantile SMA) und der Studie CHERISH (SMA mit späterem Krankheitsbeginn). Beide Studien belegten die klinisch relevante Wirksamkeit und das günstige Nutzen-Risiko-Profil von Nusinersen.

Darüber hinaus standen Daten aus unverblindeten Studien bei präsymptomatischen und symptomatischen Patienten mit infantiler SMA oder SMA mit späterem Krankheitsbeginn (oder mit großer Wahrscheinlichkeit, eine dieser Formen zu entwickeln) in Einklang mit den Ergebnissen der zulassungsrelevanten Studien und wurden als weiterer Beleg für die nun zugelassene Indikation erachtet. Die Ergebnisse der Studien sprechen für eine frühzeitige Einleitung der Behandlung mit Nusinersen.

Als Antwort auf den dringenden Behandlungsbedarf schwerstkranker SMA-Patienten hat Biogen im Jahr 2016 ein Arzneimittel-Härtefallprogramm aufgelegt, um SMA-Patienten bereits vor der Zulassung Zugang zu diesem Arzneimittel zu gewähren.

So konnte bei mehr als 350 geeigneten Patienten mit infantiler SMA in 17 europäischen Ländern die Therapie mit Nusinersen eingeleitet und bis heute fortgesetzt werden. Allein in Deutschland hat Biogen für die Behandlung von über 90 Patienten das Arzneimittel vor der Zulassung kostenfrei zur Verfügung gestellt.

Biogen ist bewusst, dass die Kosten und die Zugänglichkeit von Therapien für Patienten, Ärzte, Kostenträger und die Politik von entscheidender Bedeutung sind. Obgleich die Zulassung bereits erteilt wurde, hängt der Zeitpunkt, zu dem die Behandlung verfügbar sein wird, davon ab, welche Zugangs- und Erstattungsmöglichkeiten im betreffenden Land bestehen.

Biogen arbeitet mit den nationalen Gesundheitsbehörden der einzelnen EU-Länder zusammen, um Patienten schnellstmöglich den umfassenden Zugang zu Nusinersen zu ermöglichen.

Nach erfolgter Zulassung von Nusinersen bleibt das Härtefallprogramm in Europa für neue und bereits behandelte Patienten noch für einige Zeit geöffnet. Dies ist von Land zu Land unterschiedlich und abhängig von der kommerziellen Verfügbarkeit von Nusinersen in dem jeweiligen Land.

In Skandinavien wurde das Härtefallprogramm aufgrund lokaler Bestimmungen geschlossen. In Ländern wie Deutschland und Österreich, in denen Nusinersen kurz nach Zulassung im Markt verfügbar sein wird, wird das Härtefallprogramm für neue und bereits behandelte Patienten unmittelbar vor der Markteinführung (am 30. Juni 2017) geschlossen. Biogen arbeitet daran, einen nahtlosen Übergang vom Härtefallprogramm zur Versorgung im regulären kommerziellen Kontext sicherzustellen.

In den verbleibenden Ländern wird das Härtefallprogramm für neue Patienten für eine gewisse Zeit geöffnet bleiben, falls mit lokalen Bestimmungen vereinbar. Damit sollen Lücken zwischen Zulassung und kommerzieller Verfügbarkeit von Nusinersen im Markt vermieden werden. Das tatsächliche Datum, zu dem das Härtefallprogramm für neue Patienten geschlossen wird, legt Biogen von Land zu Land fest. Wir arbeiten an länderspezifischen Lösungen, um den Übergang vom Härtefallprogramm zur regulären Vermarktung zu regeln. Bei weiteren Fragen wenden Sie sich bitte an Ihren behandelnden Arzt.

Wir danken Ihnen und der gesamten SMA-Community für die dauerhafte Unterstützung. Ohne Sie und Ihre Familien, die Ärzte und die Wissenschaftler, die alle das Nusinersen-Programm unterstützt haben, hätten wir diesen historischen Erfolg niemals erreicht. Dieser wichtige Meilenstein gibt Patienten, Familien und der gesamten SMA-Community Anlass zu neuer Hoffnung und ist Ausdruck unseres Versprechens, das Leben von Patienten mit einer schwerwiegenden neurologischen Erkrankung zu verbessern.

Dieses Versprechen gegenüber der SMA-Community bekräftigen wir. Für uns gibt es immer noch viel zu tun. Wir arbeiten unermüdlich daran, dass der Zugang zu Nusinersen – jetzt, da die Zulassung in der EU erteilt wurde – jenen Patienten, die davon profitieren könnten, schnellstmöglich gewährt wird.

Mit freundlichen Grüßen

Biogen