

Liebe SMA-Community,

auf Ihren Wunsch nach entsprechender Information freuen wir uns, Ihnen mitzuteilen, dass die Europäische Kommission Spinraza® (Nusinersen) heute 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. Mit dem Ziel, die Lücke zwischen der Erteilung der EU-Zulassung und der Verfügbarkeit von Nusinersen möglichst klein zu halten, wird das Härtefallprogramm in Europa – sofern die vor Ort geltenden Bestimmungen dies

zulassen – neuen Patienten auch nach der Zulassung noch für eine gewisse Zeit offenstehen. Das tatsächliche Datum, zu dem das Härtefallprogramm für neue Patienten geschlossen wird, wird von Biogen von Land zu Land festgelegt. Alle Patienten, die bereits am Härtefallprogramm teilnehmen, werden das Arzneimittel weiterhin kostenfrei erhalten, bis der Zugang im jeweiligen Land geregelt ist. 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