

Liebe SMA-Gemeinde,

wir möchten ihrer Bitte nach Informationen nachkommen und ihnen die neuesten Informationen über die wichtigen Fortschritte bekanntgeben, die wir bei der Entwicklung unseres Präparates gemacht haben. Heute haben wir einen entscheidenden Schritt auf dem Weg zur Zulassung von Nusinersen erreicht. Wir haben die Dokumente zur Zulassung des Präparates („New Drug Application“) (NDA) bei der Food and Drug Administration (FDA) vollständig vorgelegt und werden dasselbe bei der European Medicines Agency (EMA) in den kommenden Wochen tun.

Wenn die Zulassungsbehörden einen Antrag erhalten haben, beginnt eine Frist, in welcher die Daten auf Vollständigkeit geprüft werden und ob die vorgelegten Daten ausreichend sind, mit dem Zulassungsprozess fortzufahren. Wir sind der FDA dankbar für die enge Zusammenarbeit während des gesamten Entwicklungsprozesses und danken der FDA, dass sie sich vor kurzem bereit erklärt hat, mit uns in einem schrittweisen Prozess die Zulassung zu bearbeiten. Dieser schrittweise Prozess der Zulassung hat uns während der letzten zwei Monate die Gelegenheit gegeben, mit der FDA in einen zunehmenden Dialog zu treten und die notwendigen Dokumente schrittweise zur Verfügung zu stellen. Darüber hinaus hat das Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP) der EMA Nusinersen den Weg der beschleunigten Zulassung garantiert, wodurch sich die Zeit der Überprüfung in der EU reduziert. Wir schätzen die Zusammenarbeit beider Zulassungsbehörden mit uns in dieser wichtigen Phase der Vorlage der Zulassungsunterlagen und deren Überprüfung außerordentlich.

Wir sind auch der gesamten SMA-Gemeinschaft unglaublich dankbar für ihre fortwährende Unterstützung. Wir müssen noch weitere Meilensteine erreichen, bevor eine mögliche Zulassung mit der endgültigen Indikation erteilt wird, aber wir kommen der Sache näher. Eine Fachinformation wird Ärzte über den bestimmungsgemäßen Gebrauch eines zugelassenen Medikamentes informieren. Die endgültige Fachinformation ist Sache der jeweiligen Länderbehörden, in denen eine Zulassung angestrebt wird. Bei jedem Antrag auf Zulassung legen wir alle Daten vor, die wir haben, und streben eine breite Zulassung bei der Behandlung von SMA an. Um es noch einmal zu wiederholen: Wenn eine Zulassung erfolgt, ist die endgültige Indikationsstellung Sache der Zulassungsbehörde und basiert auf deren Einschätzung der Daten, die wir vorlegen. Wir wissen, dass es auch weiterhin viele Fragen geben wird: Der Zeitplan des Zulassungsprozesses, Die mögliche Indikation im Falle, dass eine Zulassung erfolgt, und bezüglich unserer Pläne für ein Härtefallprogramm. Eine zeitnahe und transparente Information darüber, wie sich das Programm weiter entwickelt, ist und bleibt uns sehr wichtig. Wir sind für Nachfragen immer erreichbar.

Mit freundlichen Grüßen

Biogen und Ionis

Übersetzung aus dem Englischen: Dr. Inge Schwersenz