

# PRESSEMITTEILUNG

<< [Zurück](#)

[Druckversion anzeigen](#)

AveXis erhält FDA-Zulassung für Zolgensma<sup>®</sup>, die erste und einzige Gentherapie für pädiatrische Patienten mit spinaler Muskelatrophie (SMA)

- *SMA ist eine seltene genetisch bedingte Erkrankung, die zu fortschreitender Muskelschwäche, Lähmungen und, wenn sie in ihrer schwersten Form unbehandelt bleibt, zu dauerhafter Beatmung oder zum Tod der meisten Patienten im Alter von 2 Jahren führt [1] [2].*
- *Zolgensma (onasemnogen abeparvovec-xioi) ist für die Behandlung von Kindern unter 2 Jahren mit spinaler Muskelatrophie (SMA) zugelassen, einschließlich solcher, die zum Zeitpunkt der Diagnose prä-symptomatisch sind*
- *Zolgensma wurde entwickelt, um die genetische Grundursache von SMA zu bekämpfen, indem das defekte oder fehlende SMN1-Gen durch eine einmalige Infusion ersetzt wird, um das Fortschreiten der Krankheit zu stoppen*
- *Daten aus der Phase-3-STR1VE-Studie zeigen ein längeres ereignisfreies Überleben, eine Verbesserung der motorischen Funktion und einen signifikanten Meilenstein bei Patienten mit SMA Typ 1, was mit der Phase-1-START-Studie übereinstimmt*
- *In der START-Studie erreichten Patienten, die mit Zolgensma behandelt wurden, motorische Meilensteine, die in der Naturgeschichte der Erkrankung noch nie gesehen wurden, einschließlich Sitzen, Sprechen und einige Patienten Laufen, ohne dass die Wirkung fast vier Jahre nach der Einnahme nachließ*

**Basel, 24. Mai 2019** - AveXis, ein Novartis-Unternehmen, gab heute bekannt, dass die US-amerikanische Zulassungsbehörde FDA (Food and Drug Administration) Zolgensma<sup>®</sup> (onasemnogen abeparvovac-xioi) zur Behandlung von pädiatrischen Patienten unter 2 Jahren mit spinaler Muskelatrophie zugelassen hat (SMA) mit allen Mutationen im Überlebensgen des Motoneurons 1 ( *SMN1* ). Zolgensma

wurde entwickelt, um die genetische Grundursache von SMA anzugehen, indem eine funktionelle Kopie des menschlichen SMN-Gens bereitgestellt wird, um das Fortschreiten der Krankheit durch anhaltende SMN-Proteinexpression mit einer einzigen einmaligen intravenösen (IV) Infusion zu stoppen. Zolgensma ist die erste und einzige von der FDA zugelassene Gentherapie zur Behandlung von SMA, einschließlich solcher, die bei der Diagnose prä-symptomatisch sind.

"Die Diagnose SMA ist verheerend. Unbehandelte Babys mit der schwersten Form haben ein schmerzhaft kurzes, stark medizinisiertes Leben, in dem sie den Kopf nicht heben, sitzen oder rollen können, Schwierigkeiten beim Schlucken und Atmen haben und eine 24-Stunden-Betreuung benötigen ", sagte Jerry Mendell, leitender Forscher am Zentrum für Gentherapie des Abigail Wexner Forschungsinstituts des Nationwide Children's Hospital in Columbus, OH. "In der von uns mit Zolgensma durchgeführten klinischen START-Studie lebten alle Kinder am Ende der Studie, und viele konnten sitzen, rollen, krabbeln, spielen und einige konnten gehen. Diese Wirksamkeitsstufe, die als eine Zeittherapie ist wirklich bemerkenswert und bietet Familien, die gegen SMA Typ 1 kämpfen, ein beispielloses Maß an Hoffnung.

"Die Zulassung von Zolgensma ist ein Beweis dafür, dass Gentherapien die Behandlung lebensbedrohlicher genetischer Erkrankungen wie Rückenmarksmuskelatrophie verändern können", sagte Vas Narasimhan, CEO von Novartis. "Wir glauben, dass Zolgensma den Kindern und Familien, die von diesem verheerenden Zustand betroffen sind, ein Leben lang Möglichkeiten bieten kann."

SMA ist eine seltene genetisch bedingte neuromuskuläre Erkrankung, die durch ein defektes oder fehlendes *SMN1*- Gen verursacht wird. Ohne funktionierende *SMN1*Säuglinge mit SMA verlieren die Motoneuronen, die für Muskelfunktionen wie Atmen, Schlucken, Sprechen und Gehen verantwortlich sind. [1] Wenn die Muskeln unbehandelt bleiben, werden sie zunehmend schwächer. [1], [2] In der schwersten Form führt dies in mehr als 90% der Fälle zu einer Lähmung und schließlich zu einer dauerhaften Beatmung oder zum Tod im Alter von 2 Jahren. [3] SMA ist die häufigste Ursache für den genetischen Tod von Kindern. [4] Jährlich werden in den USA etwa 450 bis 500 Säuglinge mit SMA geboren. [5] [6] Es ist unbedingt erforderlich, SMA so früh wie möglich zu diagnostizieren und mit der Behandlung einschließlich proaktiver unterstützender Maßnahmen zu beginnen, um den irreversiblen Verlust von Motoneuronen und das Fortschreiten der Krankheit zu stoppen. [7] Dies ist besonders kritisch bei der schwersten Form, bei der die Degeneration kurz vor der Geburt einsetzt und schnell eskaliert. [8] Mit Staaten SMA zu ihrem genetischen Neugeborenen-Screening-Panel hinzufügen,

"Die einmalige Gentherapie-Dosis von Zolgensma hat das Potenzial, einen wirklich transformativen Einfluss auf diese lebensbedrohliche Krankheit zu haben", sagte Kenneth Hobby, Präsident von Cure SMA, einer Patientenvertretung, die sich der Pflege, Behandlung und Heilung von SMA widmet. "Unsere Organisation ist auf dem Weg in eine Welt ohne SMA und wir freuen uns, dass die FDA-Zulassung von Zolgensma Patienten und Familien eine leistungsstarke neue Behandlung bietet, die die zugrunde liegende Ursache der Krankheit behebt."

Die Zulassung von Zolgensma basiert auf Daten aus der laufenden Phase-3-STRIVE-Studie und der abgeschlossenen Phase-1-START-Studie, in denen die Wirksamkeit und Sicherheit einer einmaligen IV-Infusion von Zolgensma bei Patienten mit SMA Typ 1 untersucht wurde, die Symptome von SMA bei <6 zeigten

Monate alt, mit einer oder zwei Kopien in der STR1VE-Studie oder zwei Kopien in der START-Studie des *SMN2*- Backup-Gens und mit bi-allelischem *SMN1* Gen-Deletion oder Punktmutationen. Diese Daten zeigen, dass Zolgensma beispiellose Überlebensraten liefert, die in der Naturgeschichte der Krankheit noch nie gesehen wurden. schnelle Verbesserung der Motorik, oft innerhalb eines Monats nach der Einnahme; und dauerhafte Meilensteinleistung, einschließlich der Fähigkeit, ohne Unterstützung zu sitzen, ein Meilenstein, der bei unbehandelten Patienten niemals erreicht wurde. Die Sicherheitsbeobachtungen in STR1VE waren vergleichbar mit denen in der START-Studie. Die am häufigsten beobachteten unerwünschten Ereignisse waren erhöhte Aminotransferasen und Erbrechen.

"Wir danken den hartnäckigen Forschern, Partnern und Familien, die an den klinischen Studien von Zolgensma teilgenommen haben, die uns geholfen haben, diesen unglaublichen Meilenstein zu erreichen", sagte Dave Lennon, Präsident von AveXis. "Wir sind stolz darauf, Kindern mit SMA diese einmalige Gentherapie anbieten zu können und sind weiterhin bestrebt, die Wissenschaft hinter Zolgensma bei der Transformation von SMA und anderen seltenen genetischen Erkrankungen voranzutreiben."

Zolgensma wird in den USA erhältlich sein und von AveXis, einem Novartis-Unternehmen, vermarktet werden. OneGene Program™, das umfassende Patientenbetreuungsprogramm von AveXis, bietet ein engagiertes, personalisiertes Support-Team, das sich während der gesamten Behandlungsreise nach Zolgensma auf die Bedürfnisse jeder Familie konzentriert. Dazu gehören Fragen zu Zolgensma, Verifizieren Erstattung Unterstützung und Koordinierung der Finanzhilfeprogramme für in Frage kommende Patienten zu beantworten. Weitere Informationen erhalten Pflegekräfte und medizinisches Fachpersonal unter der Rufnummer 1-855-441-GENE (1-855-441-4363).

Außerhalb der USA hat Zolgensma in Europa die Auszeichnung PRIME (PRiority MEDicines) und wird im Rahmen des Accelerated Assessment Procedure überprüft. In Japan wurde auch die Auszeichnung Sakigake beschleunigt. In der Zwischenzeit hat AveXis vereinbart, das Produkt im Rahmen seines kostenpflichtigen Managed Access-Programms in Zusammenarbeit mit Durbin, einem Drittanbieter, vorbehaltlich lokaler Gesetze und Vorschriften für internationale Märkte verfügbar zu machen. Internationale Anfragen zur Verfügbarkeit von Zolgensma außerhalb der USA können bei Durbin unter AveXisMAP@DurbinGlobal.com oder + 44-20-8869-6506 gestellt werden.

AveXis hat mit dem Nationwide Children's Hospital eine exklusive weltweite Lizenz für die intravenöse und intrathekale Verabreichung der AAV9-Gentherapie zur Behandlung aller Arten von SMA. hat eine exklusive weltweite Lizenz von REGENXBIO für einen beliebigen rekombinanten AAV-Vektor in seinem Portfolio für geistiges Eigentum zur gentherapeutischen Behandlung von SMA beim Menschen in vivo; eine exklusive, weltweite Lizenzvereinbarung mit Genethon für die In-vivo-Verabreichung des AAV9-Vektors in das Zentralnervensystem zur Behandlung von SMA; und ein nicht exklusiver, weltweiter Lizenzvertrag mit AskBio über die Verwendung seiner selbstkomplementären DNA-Technologie zur Behandlung von SMA.

### **Über Zolgensma Klinische Daten**

Die Wirksamkeit von Zolgensma bei pädiatrischen Patienten unter 2 Jahren mit SMA

mit allelischen Mutationen im *SMN1*- Gen wurde in STRIVE, einer offenen, einarmigen klinischen Studie (in Bearbeitung) und in START evaluiert, eine offene, einarmige klinische Studie mit aufsteigender Dosis (abgeschlossen). Bei Patienten traten klinische Symptome auf, die mit SMA im Einklang standen, bevor sie 6 Monate alt waren. Alle Patienten hatten genetisch bestätigte Deletionen des bi-allelischen *SMN1*- Gens, zwei Kopien des *SMN2*- Gens und das Fehlen der c.859G> C-Modifikation in Exon 7 von *SMN2*Gen (das einen milderen Phänotyp vorhersagt). Alle Patienten hatten Basislinien-Anti-AAV9-Antikörpertiter von  $> = 1:50$ , gemessen durch ELISA. In beiden Studien wurde Zolgensma als intravenöse Einzeldosisinfusion verabreicht.

Die Wirksamkeit wurde auf der Grundlage des Überlebens und des Erreichens von Meilensteinen der motorischen Entwicklung wie z. B. des Sitzens ohne Unterstützung festgestellt. Das Überleben wurde als Zeit von der Geburt bis zum Tod oder als dauerhafte Beatmung definiert. Als permanente Beatmung wurde definiert, dass eine invasive Beatmung (Tracheotomie) oder eine Beatmungsunterstützung für 16 oder mehr Stunden pro Tag (einschließlich nicht-invasiver Beatmungsunterstützung) kontinuierlich für 14 oder mehr Tage in Abwesenheit einer akuten reversiblen Erkrankung ohne perioperative Beatmung erforderlich ist. Die Wirksamkeit wurde auch durch Bewertungen des Beatmungsgerätgebrauchs, der Ernährungsunterstützung und der Ergebnisse des Kinderkrankenhauses von Philadelphia, Kindertest für neuromuskuläre Erkrankungen (CHOP-INTEND), gestützt. CHOP-INTEND ist eine Bewertung der motorischen Fähigkeiten bei Patienten mit SMA bei Neugeborenen.

Die laufende klinische Studie STRIVE umfasste 21 Patienten (10 Männer und 11 Frauen) mit SMA bei Neugeborenen. Vor der Behandlung mit Zolgensma benötigte keiner der 21 Patienten eine nicht-invasive Beatmungsunterstützung (NIV), und alle Patienten konnten ausschließlich oral ernähren (dh es war keine nicht-orale Ernährung erforderlich). Der mittlere CHOP-INTEND-Score zu Studienbeginn betrug 31,0 (Bereich 18 bis 47). Alle Patienten erhielten  $1,1 \times 10^12$  [1] [4] vg / kg Zolgensma. Das Durchschnittsalter der 21 Patienten zum Zeitpunkt der Behandlung betrug 3,9 Monate (Bereich 0,5 bis 5,9 Monate).

Zum Zeitpunkt der Datenunterbrechung im März 2019 lebten 19 Patienten ohne permanente Beatmung (dh ereignisfreies Überleben) und setzten die Studie fort, während ein Patient im Alter von 7,8 Monaten aufgrund des Fortschreitens der Erkrankung starb und ein Patient aus der Studie ausschied im Alter von 11,9 Monaten. Die 19 überlebenden Patienten, die an der Studie teilnahmen, waren zwischen 9,4 und 18,5 Monaten alt. Zum Zeitpunkt der Datenunterbrechung erreichten 13 der 19 Patienten, die an der Studie teilnahmen, ein Alter von 14 Monaten ohne permanente Beatmung, einem der Endpunkte der co-primären Wirksamkeit der Studie. Zusätzlich zum Überleben ergab die Bewertung des anderen Endpunkts der co-primären Wirksamkeit, dass 10 der 21 Patienten (47,6%) die Fähigkeit erreichten, im Alter zwischen 9,2 und 16,9 Monaten  $> = 30$  Sekunden ohne Unterstützung zu sitzen (das Durchschnittsalter betrug 12,1 Monate). Basierend auf der Naturgeschichte der Krankheit, Von Patienten, die die Kriterien für den Studieneintritt erfüllten, würde nicht erwartet, dass sie die Fähigkeit zum Sitzen ohne Unterstützung erreichen, und von nur ungefähr 25% dieser Patienten würde erwartet, dass sie über 14 Monate alt sind (dh ohne permanente Beatmung leben). Darüber hinaus hatten 16 der 19 Patienten keine tägliche NIV benötigt.

Der Vergleich der Ergebnisse der laufenden klinischen Studie mit verfügbaren Daten zur Naturgeschichte von Patienten mit SMA bei Neugeborenen liefert einen primären Beweis für die Wirksamkeit von Zolgensma.

Die abgeschlossene klinische Studie START umfasste 15 Patienten (6 Männer und 9 Frauen) mit SMA bei Neugeborenen, 3 in einer Niedrigdosis-Kohorte und 12 in einer Hochdosis-Kohorte. Zum Zeitpunkt der Behandlung betrug das Durchschnittsalter der Patienten in der Niedrigdosis-Kohorte 6,3 Monate (Bereich 5,9 bis 7,2 Monate) und 3,4 Monate (Bereich 0,9 bis 7,9 Monate) in der Hochdosis-Kohorte. Die Dosis, die Patienten in der Niedrigdosis-Kohorte erhielten, betrug ungefähr ein Drittel der Dosis, die Patienten in der Hochdosis-Kohorte erhielten. Die genauen Dosierungen von Zolgensma, die Patienten in dieser abgeschlossenen klinischen Studie erhalten haben, sind jedoch unklar, da sich die Methode zur Messung der Zolgensma-Konzentration geändert hat und die Konzentration von gelagertem Zolgensma mit der Zeit abnimmt. Der retrospektiv geschätzte Dosierungsbereich in der Hochdosis-Kohorte beträgt ungefähr  $1,1 \times 10^8$  [1] [4] bis  $1,4 \times 10^8$  [1] [4] vg / kg.

24 Monate nach der Zolgensma-Infusion erreichte ein Patient in der Niedrigdosis-Kohorte den Endpunkt einer dauerhaften Beatmung. Alle 12 Patienten in der Hochdosis-Kohorte lebten ohne permanente Beatmung. Keiner der Patienten in der Niedrigdosis-Kohorte konnte ohne Unterstützung sitzen, stehen oder gehen; in der hochdosierten Kohorte konnten 9 der 12 Patienten (75,0%)  $> = 30$  Sekunden lang ohne Unterstützung sitzen und 2 Patienten (16,7%) konnten ohne Unterstützung stehen und gehen. Ein Vergleich der Ergebnisse der Niedrigdosis-Kohorte mit den Ergebnissen der Hochdosis-Kohorte zeigt eine Dosis-Wirkungs-Beziehung, die die Wirksamkeit von Zolgensma unterstützt.

### **Über Zolgensma® (Onasemnogen Apeparvovec-Xioi)**

Zolgensma (onasemnogen apearvovec-xioi) ist eine von der US-amerikanischen Gesundheitsbehörde (Food and Drug Administration) zugelassene Gentherapie zur Behandlung von pädiatrischen Patienten unter 2 Jahren mit spinaler Muskelatrophie (SMA) mit bi-allelischen Mutationen im überlebenden Motoneuron 1 (SMN1) - Gen. Zolgensma wurde entwickelt, um die genetische Grundursache von SMA anzugehen, indem eine funktionelle Kopie des menschlichen SMN-Gens bereitgestellt wird, um das Fortschreiten der Krankheit durch anhaltende SMN-Proteinexpression mit einer einzigen einmaligen intravenösen (IV) Infusion zu stoppen. Zolgensma ist das erste zugelassene Therapeutikum auf einer proprietären Plattform zur Behandlung seltener, monogener Krankheiten mittels Gentherapie. Die Therapie wird ebenfalls aufsichtsrechtlich überprüft und voraussichtlich noch in diesem Jahr in Japan und der Europäischen Union zugelassen.

### **Über spinale Muskelatrophie (SMA)**

SMA ist eine schwere neuromuskuläre Erkrankung, die durch den Verlust von Motoneuronen gekennzeichnet ist und zu fortschreitender Muskelschwäche und Lähmung führt. SMA wird durch einen genetischen Defekt in dem verursacht *SMN1* Gen, das SMN ein Proteins, das für das Überleben von motorischen Neuronen. [1], [2], um das Auftreten von SMA etwa 1 in 10.000 Lebendgeburten ist, und es ist die häufigste genetische Ursache für Kindersterblichkeit. [2], [4] die schwerste Form der SMA Typ 1, eine tödliche Erkrankung genetische durch schnellen Motoneuronverlust gekennzeichnet und Muskelabbau verbunden ist, um 24 Monate alt in der Sterblichkeit oder die

Notwendigkeit für permanente Belüftung Unterstützung resultierend für mehr als 90 Prozent der Patienten, wenn sie unbehandelt bleiben. [3]

### **Indikation**

Zolgensma (onasemnogen abeparvovec-xioi) ist eine adenoassoziierte vektorbasierte Gentherapie, die für die Behandlung von Kindern unter 2 Jahren mit spinaler Muskelatrophie (SMA) mit bi-allelischen Mutationen im überlebenden Motoneuron 1 indiziert ist ( *SMN1* ) -Gen.

Einschränkung der Anwendung:

Die Sicherheit und Wirksamkeit einer wiederholten Anwendung von Zolgensma wurde nicht untersucht.

Die Anwendung von Zolgensma bei Patienten mit fortgeschrittener SMA (z. B. vollständige Lähmung der Gliedmaßen, dauerhafte Abhängigkeit von Beatmungsgeräten) wurde nicht untersucht.

### **wichtiger Sicherheitshinweis**

#### **Akute**

**schwere Leberschädigung Bei Zolgensma können akute schwere Leberschädigungen und erhöhte Aminotransferasen auftreten . Patienten mit vorbestehender Leberfunktionsstörung haben möglicherweise ein höheres Risiko. Überprüfen Sie vor der Infusion die Leberfunktion aller Patienten durch klinische Untersuchungen und Labortests (z. B. Leberaminotransferasen [Aspartataminotransferase und Alaninaminotransferase], Gesamtbilirubin und Prothrombinzeit). Verabreichen Sie allen Patienten vor und nach der Zolgensma-Infusion systemisches Kortikosteroid. Überwachen Sie die Leberfunktion mindestens 3 Monate nach der Infusion.**

#### **Thrombozytopenie Ein**

vorübergehender Rückgang der Thrombozytenzahl, von denen einige die Kriterien für eine Thrombozytopenie erfüllten, wurde zu verschiedenen Zeitpunkten nach der Zolgensma-Infusion beobachtet. Überwachen Sie die Thrombozytenzahlen vor der Zolgensma-Infusion und danach regelmäßig.

#### **Erhöhte Troponin-I**

-Werte In klinischen Studien wurde nach der Infusion von Zolgensma ein vorübergehender Anstieg der Troponin-I-Werte im Herzen (bis zu 0,176 µg / l) beobachtet. Die klinische Bedeutung dieser Befunde ist nicht bekannt. In Tierversuchen wurde jedoch eine kardiale Toxizität beobachtet. Überwachen Sie Troponin-I vor der Zolgensma-Infusion und danach regelmäßig mindestens 3 Monate lang.

#### **Nebenwirkungen**

Die am häufigsten beobachteten Nebenwirkungen (Inzidenz > = 5%) waren erhöhte Aminotransferasen und Erbrechen.

Bitte lesen Sie die vollständigen [Verschreibungsinformationen](#) für Zolgensma, einschließlich verpackter Warnung bei akuter schwerer Leberschädigung.

#### **Haftungsausschluss**

neue Indikationen oder Kennzeichnungen für Zolgensma und für die in dieser

Pressemitteilung beschriebenen Prüfpräparate oder in Bezug auf potenzielle zukünftige Einnahmen aus solchen Produkten. Sie sollten sich nicht unangemessen auf diese Aussagen verlassen. Solche zukunftsgerichteten Aussagen beruhen auf unseren gegenwärtigen Annahmen und Erwartungen in Bezug auf zukünftige Ereignisse und unterliegen signifikanten bekannten und unbekanntem Risiken und Ungewissheiten. Sollten eines oder mehrere dieser Risiken oder Unsicherheiten eintreten oder sollten sich die zugrunde liegenden Annahmen als falsch erweisen, können die tatsächlichen Ergebnisse erheblich von den in den zukunftsgerichteten Aussagen angegebenen Ergebnissen abweichen. Es kann nicht garantiert werden, dass Zolgensma und die in dieser Pressemitteilung beschriebenen Prüfpräparate zum Verkauf oder für zusätzliche Indikationen oder Kennzeichnungen in einem Markt oder zu einem bestimmten Zeitpunkt eingereicht oder zugelassen werden. Es kann auch keine Garantie dafür gegeben werden, dass solche Produkte in Zukunft kommerziell erfolgreich sein werden. Insbesondere könnten unsere Erwartungen in Bezug auf solche Produkte unter anderem durch die Unsicherheiten in Bezug auf Forschung und Entwicklung beeinträchtigt werden, einschließlich der Ergebnisse klinischer Studien und zusätzlicher Analysen bestehender klinischer Daten. Regulierungsmaßnahmen oder Verzögerungen oder staatliche Regulierung im Allgemeinen; globale Trends in Richtung Kostensenkung im Gesundheitswesen, einschließlich Preis- und Erstattungsdruck seitens der Regierung, des Kostenträgers und der Öffentlichkeit sowie Anforderungen für mehr Preistransparenz; unsere Fähigkeit, geschützten Schutz des geistigen Eigentums zu erhalten oder aufrechtzuerhalten; die besonderen Verschreibungspräferenzen von Ärzten und Patienten; allgemeine politische und wirtschaftliche Bedingungen; Sicherheits-, Qualitäts- oder Herstellungsprobleme; Potenzielle oder tatsächliche Verstöße gegen die Datensicherheit und den Datenschutz oder Störungen unserer Informationstechnologiesysteme sowie andere Risiken und Faktoren, auf die im aktuellen Formular 20-F der Novartis AG hingewiesen wird, das bei der US-amerikanischen Börsenaufsichtsbehörde (US Securities and Exchange Commission) hinterlegt ist. Novartis stellt die Informationen in dieser Pressemitteilung ab diesem Datum zur Verfügung und übernimmt keine Verpflichtung, die in dieser Pressemitteilung enthaltenen zukunftsgerichteten Aussagen aufgrund neuer Informationen, zukünftiger Ereignisse oder aus anderen Gründen zu aktualisieren.

### **Über AVEXIS**

AVEXIS, ein Novartis Unternehmen, ist spezialisiert auf die Entwicklung und Vermarktung neuartiger Therapien für Patienten, die an seltenen und lebensbedrohlichen neurologischen genetischen Krankheiten leiden. Unser Ausgangsprodukt, Zolgensma, ist eine von der US-amerikanischen Food and Drug Administration zugelassene Gentherapie zur Behandlung von pädiatrischen Patienten mit SMA im Alter von weniger als 2 Jahren mit spinaler Muskelatrophie (SMA) mit bi-allelic Mutationen im Überlebens-Motoneuron 1 ( *SMN1* ) - Gen. Neben der Entwicklung von Zolgensma zur Behandlung aller Formen von SMA plant AveXis die Entwicklung weiterer neuartiger Therapien für seltene neurologische Erkrankungen, einschließlich des Rett - Syndroms und einer genetischen Form der Amyotrophen Lateralsklerose, die durch Mutationen in der Superoxiddismutase 1 ( *SOD1* ) verursacht wird Gen. Weitere Informationen erhalten Sie unter [www.avexis.com](http://www.avexis.com).

### **Über Novartis**

Novartis erfindet die Medizin neu, um das Leben der Menschen zu verbessern und zu verlängern. Als ein weltweit führendes Arzneimittelunternehmen setzen wir

innovative wissenschaftliche und digitale Technologien ein, um transformative Behandlungen in Bereichen mit hohem medizinischen Bedarf zu entwickeln. Auf unserer Suche nach neuen Arzneimitteln gehören wir stets zu den weltweit führenden Unternehmen, die in Forschung und Entwicklung investieren. Novartis-Produkte erreichen weltweit mehr als 750 Millionen Menschen und wir suchen nach innovativen Wegen, um den Zugang zu unseren neuesten Behandlungen zu erweitern. Bei Novartis arbeiten weltweit rund 105 000 Menschen mit mehr als 140 Nationalitäten. Weitere [Informationen](#) finden Sie unter [www.novartis.com](http://www.novartis.com) .

Novartis ist auf Twitter. Melden Sie sich an, um @Novartis unter <http://twitter.com/novartis> zu folgen

Informationen zu Novartis Multimedia-Inhalten finden Sie unter [www.novartis.com/news/media-library](http://www.novartis.com/news/media-library)

Bei Fragen zur Website oder zur Registrierung wenden Sie sich bitte an [media.relations@novartis.com](mailto:media.relations@novartis.com)

## Verweise

1. Anderton RS und Mastaglia FL. *Experte Rev. Neurother* . 2015; 15 (8): 895 & ndash; 908.
2. Nationale Organisation für seltene Krankheiten (NORD). Spinale Muskelatrophie. <http://rarediseases.org/rarediseases/spinal-muscular-atrophy/>. Zugriff am 9. Oktober 2018.
3. Finkel RS et al. *Neurologie* . 2014; 83 (9): 810–7.
4. Farrar MA et al. *Ann Neurol* . 2017; 81 (3): 355 & ndash; 368.
5. Daten in Datei.
6. Verhaart IEC, Robertson A. et al. *J Neurol* . 2017 Jul; 264 (7): 1465 & ndash; 1473.
7. Soler - Botija C, et al. *Gehirn* . 2002; 125 (7): 1624 & ndash; 1634.
8. Swoboda KJ et al. *Ann Neurol* . 2005; 57 (5): 704 & ndash; 712.
9. Verwaltung HRaS. Empfohlenes einheitliches Screening Panel (RUSP). 2018; <https://www.hrsa.gov/advisory-committees/heritable-disorders/rusp/index.html>. Zugriff am 30. Oktober 2018, 2018.

## Novartis Media Relations E-Mail: [media.relations@novartis.com](mailto:media.relations@novartis.com)

Eric Althoff  
Externe Kommunikation von Novartis  
+1 646 438 4335 (mobil)  
[eric.althoff@novartis.com](mailto:eric.althoff@novartis.com)

Farah Balsara Speer  
VP, Unternehmenskommunikation, AveXis  
+1 312 543 2881 (mobil)  
[fSpeer259@avexis.com](mailto:fSpeer259@avexis.com)

## Novartis Investor Relations

**Zentrale Investor Relations-Leitung: +41 61 324 7944**



E-Mail: [investor.relations@novartis.com](mailto:investor.relations@novartis.com)

Zentral

Samir Shah

+41 61 324 7944

Pierre-Michel Bringer

+41 61 324 1065

Thomas Hungerbühler

+41 61 324 8425

Isabella Zinck

+41 61 324 7188

Nordamerika

Richard Pulik

+1 862 778 3275

Cory Twining

+1 862 778 3258