

Die Zulassung von Zolgensma® ist beantragt

Die Zulassung von Zolgensma® zur Gentherapie bei Spinaler Muskelatrophie (SMA) durch die European Medicines Agency (EMA) ist vom Pharmaunternehmen beantragt, der Zeitpunkt einer Genehmigung ist nicht vorhersehbar. Der Wirkstoff hat bei der amerikanischen Arzneimittelbehörde (FDA) bereits erfolgreich den Zulassungsprozess durchlaufen. Seit dem 24. Mai 2019 ist die Therapie von Kindern bis zum Alter von zwei Jahren in den USA möglich.

Zolgensma® wird mit einem Preis von knapp unter zwei Millionen Euro in die Apotheken kommen. Neben dem hohen Medikamentenpreis gibt es aber zahlreiche medizinische, wirtschaftliche und infrastrukturelle Herausforderungen, die auf die Behandler, Patienten und das gesamte Gesundheits- und Versorgungssystem zukommen.

Um diesem Problem vorbereitet zu begegnen, haben sich auf Initiative der Deutschen Gesellschaft für Muskelkranke (DGM), der größten und ältesten deutschen neuromuskulären Patientenorganisation, die neuropädiatrischen Vertreter der potentiellen deutschen Behandlungszentren und Vertreter des medizinischen Beirats der DGM am 22. August 2019 in Frankfurt/Main getroffen. Gemeinsam stimmten sich die Mediziner über die obligaten Qualitätskriterien für entsprechende Therapiezentren ab.

Im Konsens wurde ein Behandlungsablauf zur Betreuung der Kinder vor, während und nach der Applikation definiert. Die zunächst eher trivial scheinende intravenöse Therapie erfordert aus medizinischen, wissenschaftlichen, infrastrukturellen, organisatorischen und sozialen Gesichtspunkten ein sehr komplexes und zeitintensives Zusammenspiel von Beratung, Behandlung, Versorgung, Pflege und Dokumentation. Die definierten Qualitätskriterien der Behandlungsbedingungen erfüllen etwa 10-15 deutsche Therapiezentren. Ein wesentliches Anliegen der Kinderneurologen ist es, eine allgemein anerkannte und einheitliche Verlaufsdocumentation verpflichtend zu vereinbaren, um so dringend notwendige medizinische Langzeitdaten für dieses therapeutische Neuland zu sammeln.

Die neue Therapie erfordert außerdem eine neue Versorgungsform, die bislang in den Finanzierungsstrukturen der Krankenkassen noch nicht geklärt ist. Der Planungs-, Vor- und Nachsorgeaufwand wird außergewöhnlich hoch und für Neuromuskuläre Zentren ohne adäquate Zusagen der Krankenkassen zur Übernahme der Kosten für Medikament, Behandlung und insbesondere personelle Betreuung nicht machbar sein.

Die erforderlichen Aufwendungen im Behandlungsprozess werden nun mit aktuellen Kostendaten belegt, um die notwendige Finanzierungspauschale möglichst genau festlegen zu können und mit den Krankenkassen Regelungen zu treffen.

Insgesamt wurde die enorme Wichtigkeit und Aktualität eines gemeinsamen Vorgehens für die Zolgensma®-Therapie unter den Ärzten, Behandlungszentren sowie Patientenvertretern, wie die Deutsche Gesellschaft für Muskelkranke (DGM) betont.