



## **Mitteilung der AveXis Europe Ltd. an die Fachmedien bzgl. Onasemnogene abeparvovec-xioi**

**Dublin, 16. Dezember 2019** - Onasemnogene abeparvovec-xioi (Handelsname in den USA: Zolgensma®) ist in den USA seit Mai 2019 zugelassen für die Therapie von Kindern mit spinaler Muskelathrophie (SMA) im Alter von bis zu 2 Jahren. Die europäische Zulassung wurde im November 2018 beantragt und wird im ersten Halbjahr 2020 erwartet. Wir fühlen mit allen Familien, die Kinder mit SMA-Diagnose haben, einer seltenen und zerstörerisch verlaufenden Krankheit und stehen hinter den Ärzten, die Experten für diese Erkrankung sind und alles für ihre Patienten tun.

### **Zur Kostenübernahme von Onasemnogene abeparvovec-xioi**

Es gibt rechtliche Bestimmungen in Deutschland für den Einzelimport aus den USA (§ 73 Abs. 3 Arzneimittelgesetz) und die Kostenübernahme durch die gesetzliche Krankenversicherung (§ 2 Abs. 1a SGB V) in begrenzten Ausnahmefällen („ultima ratio“-Situation). Versicherte mit einer lebensbedrohlichen oder regelmäßig tödlichen Erkrankung, für die eine allgemein anerkannte, dem medizinischen Standard entsprechende Leistung nicht zur Verfügung steht, können eine Leistung beanspruchen, wenn Aussicht auf Heilung oder spürbare positive Auswirkung auf den Krankheitsverlauf besteht.

Für den Einsatz von Onasemnogene abeparvovec-xioi vor Zulassung heißt das konkret:

- Seit 2017 steht für die Therapie von SMA ein in Deutschland zugelassenes Arzneimittel zur Verfügung.
- Erst wenn eine zugelassene Therapie nicht zufriedenstellend wirkt, kann eine nicht zugelassene Alternative in Erwägung gezogen werden.
- Dies gilt (entsprechend der Zulassung in den USA) nur für Kinder bis zwei Jahre.

Bisher wurden im Rahmen dieser Ausnahmeregelung drei Kinder (Stand 16.12.2019) in Deutschland mit Onasemnogene abeparvovec-xioi behandelt.

### **Zur Anwendung von Onasemnogene abeparvovec-xioi**

Wir betrachten mit Sorge, wie in Laienmedien über ein nicht zugelassenes Arzneimittel berichtet wird und dass klinische Fakten und Studienergebnisse zu Onasemnogene abeparvovec-xioi teilweise unzutreffend abgebildet werden. Die Entscheidung, ob eine in Europa noch nicht zugelassene Gentherapie angewendet werden soll, muss in Einzelfall sorgfältig geprüft und im Einklang mit den bestehenden Regularien getroffen werden. Für solch einen Fall unterstützen wir ausdrücklich die Forderung des Gemeinsamen Bundesausschuss‘ (G-BA) sowie der Gesellschaft für Neuropädiatrie e.V. für eine qualitätsgesicherte Anwendung:

- Die Entscheidung muss von einem erfahrenen Neuropädiater für jeden einzelnen Fall individuell getroffen werden, und ein multidisziplinäres Team sollte vorhanden sein.



- Die Indikation zur Behandlung und deren Durchführung soll nach strenger Risiko-Nutzen-Abwägung im Einzelfall ausschließlich durch ausgewiesene Muskelzentren erfolgen, die von der Gesellschaft für Muskelkranke e.V. zertifiziert wurden.
- Die Zentren sollen über die Notwendigkeiten und Voraussetzungen bei der Lieferung, Aufbereitung und Applikation geschult sein.
- Alle Patienten sollen von Anfang an gut dokumentiert werden. Wir werden den Aufbau/Ausbau eines deutschen SMA Registers unterstützen.

### **Zur Haftung bzgl. der Anwendung von Onasemnogene abeparvovec-xioi**

Den Arzt, der Einzelimporte einsetzt, trifft nach unserer Ansicht als Anwender keine Produkthaftung. Es gelten die allgemeinen arzthaftungsrechtlichen Regelungen. Die Anforderungen an eine ordnungsgemäße Risikoaufklärung durch Ärzte, die experimentell ein nicht zugelassenes Arzneimittel einsetzen, sind grundsätzlich umfangreicher als beim Einsatz zugelassener Arzneimittel. Die Produkthaftung liegt – wie auch bei zugelassenen Arzneimitteln – primär beim Unternehmen, hier der AveXis Inc. als Herstellerfirma.

Seit der Zulassung von Onasemnogene abeparvovec-xioi in den USA im Mai 2019 erhalten wir aus der ganzen Welt aufgrund des transformativen Charakters der Therapie viele Anfragen und Bitten nach einem Zugang vor Zulassung. Wir führen daher Gespräche mit allen Beteiligten im Gesundheitswesen, um weitere Lösungen zu finden.

AveXis hat für Deutschland eine Lösung entwickelt, die es erlaubt, betroffenen Patienten auch weiterhin schnell und im bestehenden Rechtsrahmen zu helfen. Dieses Angebot wollen wir zeitnah mit allen relevanten Krankenkassen besprechen.

Darüber hinaus nehmen wir unsere soziale Verantwortung sehr ernst und arbeiten an einem Vorschlag für ein internationales Programm (Global Managed Access Program, kurz MAP). Es wird auch Patienten in Ländern ohne Zugang zu onasemnogene abeparvovec-xioi eine Chance geben, von dieser Innovation zu profitieren.

### **Kontakt:**

Medizinischer Informationsdienst von AveXis  
[medinfo.emea@avexis.com](mailto:medinfo.emea@avexis.com)