



14. Januar 2020

Liebe Mitglieder von SMA Europe,

vor Kurzem haben Sie uns um mehr Informationen zu den Plänen von Roche zu einem Härtefallprogramm (CU) mit dem Prüfpräparat Risdiplam gebeten. Aus diesem Grund möchten wir Sie mit diesem Brief darüber informieren.

In den letzten Jahren gab es sehr wichtige Fortschritte in Bezug auf die Behandlung von SMA- Patienten. Trotzdem muss festgehalten werden, dass nach wie vor ein hoher ungedeckter Bedarf an medikamentöser Behandlung bei SMA-Patienten besteht. Einige Patienten, die lebensbedrohlich erkrankt oder in einem gesundheitlich schlechten Zustand sind, haben keinen Zugang zu zufriedenstellender medikamentöser Behandlung oder zu klinischen Studien.

Wir freuen uns, Ihnen mitteilen zu können, dass Roche als Reaktion auf diesen ungedeckten Bedarf an medikamentöser Behandlung ein globales Härtefallprogramm (CU) für Risdiplam aufgelegt hat. Das Programm wird in den Ländern starten, in denen die nationale Gesetzgebung solche Programme vorsieht und in denen solche Programme mit unserer Firmenpolitik vereinbar sind. Durch ein Härtefallprogramm können Patienten, die einen sehr dringenden Behandlungsbedarf und keine anderen Therapiemöglichkeiten haben, Zugang zu unserem Prüfpräparat erhalten, bevor dieses durch die Behörden zugelassen wird.

In Ländern, in denen das Härtefallprogramm schon begonnen hat oder bald gestartet wird, ermöglicht Roche zuerst den Patienten mit dem dringendsten medizinischen Bedarf, denen mit SMA Typ I, den Zugang zu Risdiplam, wenn der behandelnde Arzt das für angebracht hält. Wir sind uns jedoch bewusst, dass auch bei Patienten mit anderen Typen der SMA lebensbedrohliche Situationen bestehen können. Wenn die Zulassung für Risdiplam eingereicht wird, wird das Härtefallprogramm auf Patienten mit Typ II erweitert. Das bedeutet, dass in teilnehmenden Ländern der Europäischen Union das Programm für Patienten mit Typ I bereits verfügbar ist (*Anmerkung der Übersetzerin: Auf Nachfrage bei der Firma Roche ist geplant, das Programm auch in Deutschland umzusetzen. Es ist aber zurzeit (Januar 2020) in Deutschland noch nicht verfügbar*). Zum Zeitpunkt der Einreichung der Zulassung bei der European Medicines Agency (EMA), die für Mitte 2020 geplant ist, wird das Härtefallprogramm auf Typ II SMA erweitert.

Es ist sehr wichtig zu betonen, dass Härtefallprogramme für Prüfpräparate immer den nationalen Gesetzgebungen und Regelungen entsprechen müssen. Diese können sich von Land zu Land unterscheiden und als Folge davon können sich auch die Härtefallprogramme je nach Land unterscheiden. Wenn Patienten Interesse am Zugang zu Risdiplam haben, empfehlen wir, diese Möglichkeit mit dem behandelnden Arzt zu diskutieren. Die Entscheidung, einen Antrag auf Aufnahme in das Härtefallprogramm zu stellen, sollte vom behandelnden Arzt getroffen werden. Falls dieser zu dem Schluss kommt, dass diese Möglichkeit das Beste für den Patienten ist, muss er den Antrag bei der nationalen Firmenvertretung stellen.

Unsere oberste Priorität ist es, einen breiten und dauerhaften Zugang zu dem Medikament durch eine Zulassung durch die Zulassungsbehörde und nachfolgende Erstattung zu ermöglichen. Wir arbeiten deshalb mit Gesundheitsbehörden, Regierungsbehörden und anderen Interessenvertretern auf der ganzen Welt eng zusammen. Ziel ist es, dass Risdiplam allen Patienten, die davon profitieren könnten, sobald wie möglich zur Verfügung steht.

Wir möchten uns für die Zusammenarbeit bedanken und wir freuen uns, weitere Aktualisierungen zu unserem Programm bekannt zu geben, sobald diese verfügbar sind.

Mit den besten Grüßen

Fani Petridis

Fani Petridis, im Namen des Roche Global SMA Teams
Global Patient Partnership Director, Rare Diseases

Nicht autorisierte Übersetzung aus dem Englischen von Dr. Inge Schwersenz