

## **Zur Härtefallregelung für Zolgensma: ACHSE fühlt mit allen betroffenen Eltern**

**Berlin, 11. Februar 2020** – Wenn ein neues Medikament für eine schwere lebensverkürzende Erkrankung entwickelt wird, haben alle Betroffenen die Hoffnung, dass dies für sie oder für ihr Kind, eine Heilung oder zumindest eine deutliche Verbesserung der Lebensqualität oder Lebensdauer bedeutet. Erst recht bei einer so dramatischen Erkrankung wie SMA. Es ist daher nur zu verständlich, dass Betroffene mit allen Mitteln dafür kämpfen, dieses Medikament zu erhalten, in der Hoffnung das Leben ihres Kindes zu retten oder zumindest zu verlängern.

ACHSE setzt sich dafür ein, dass mehr Medikamente für Menschen mit Seltenen Erkrankungen entwickelt werden und diese dann auch so schnell wie möglich für alle betroffenen Menschen verfügbar sind. Es ist schwer verkraftbar, wenn solche Medikamente später als nötig beim Betroffenen ankommen. Es ist schon schwer, wenn dies nur dadurch bedingt ist, dass gute Wissenschaft eben seine Zeit braucht. Es ist noch schwerer, wenn dies durch Verzögerungen im System, z.B. bei der Zulassung, der Produktion oder Ähnlichem, verursacht wird.

Grundsätzlich ist es so: Wenn ein Medikament in Europa einmal zugelassen worden ist, haben deutsche Patienten im Vergleich zu allen europäischen Patienten den besten Zugang: zu den meisten Produkten und am schnellsten. Solange ein Produkt noch nicht zugelassen ist – so wie Zolgensma, das neue Medikament zur Behandlung bei SMA – kann es im Rahmen einer Härtefallregelung verabreicht werden (auch „Compassionate Use“ genannt). Die wichtigste Anforderung dafür ist, dass der Patient oder die Patientin zunächst nicht mit einem für Deutschland zugelassenen Arzneimittel zufriedenstellend behandelt werden kann und die Teilnahme an einer laufenden klinischen Prüfung in Deutschland nicht möglich ist.

Eine Härtefallregelung muss in Deutschland beim Paul-Ehrlich-Institut angemeldet werden. Dieses kann dann bei Bedarf widersprechen; das hat das PEI nicht getan<sup>1</sup>. Unsere Mitgliedsorganisation, die Deutsche Gesellschaft für Muskelkranke – SMA ist eine Muskelkrankheit - hat die Härtefallregelung kritisiert, weil es aus ihrer Sicht nur einen kleinen Kreis von Patienten gibt, für die die zugelassene Therapie Spinraza nicht wirksam und ein Losverfahren deshalb nicht notwendig ist.

Als Dachverband für alle Menschen mit Seltenen Erkrankungen können wir nicht beurteilen, wie viele und welche Patienten mit SMA nicht oder nicht ausreichend vom zugelassenen Produkt Spinraza profitieren. Auch zur Wirkung von Zolgensma ist generell noch nicht sehr viel bekannt. Offenbar sind einige Fragen der European Medicines Agency (EMA) noch ungeklärt. Eine Zulassung in den Vereinigten Staaten heißt nicht automatisch, dass das Produkt auch in Europa zugelassen wird.

Unseres Erachtens ist ein Losverfahren allerdings nicht per se unethisch. Wenn alle Patienten das Produkt gleich dringend brauchen, aber noch nicht genügend Wirkstoff für alle verfügbar gemacht wurde, ist eine Zufallsauswahl per Computer die bestmögliche Lösung in einer dramatischen Situation. Wie soll das Produkt sonst verteilt werden? Bei einem Losverfahren wird die Auswahl nicht durch persönliche Präferenzen oder emotionalen oder sonstigen Druck von außen beeinflusst.

Die ACHSE kann und möchte auf das Auswahlverfahren bei Zolgensma keinen Einfluss nehmen. Wir hoffen von Herzen, dass diese Gentherapie so schnell wie möglich für alle zugänglich wird und sich dann auch als so segensreich erweisen wird, wie es zurzeit offenbar den Anschein hat.

---

<sup>1</sup> <https://www.pei.de/DE/newsroom/hp-meldungen/2020/200203-onasemnogne-abeparvovex-xioi.html>