

# Statement zum Wert von Gentherapie bei spinaler Muskelatrophie in Deutschland

Juni 18, 2020

## **Europäische Kommission erteilt Zulassung für erste und einzigartige Gentherapie für Patienten mit SMA zur Einmalgabe - Verfügbarkeit im deutschen Markt ab 1. Juli 2020**

Die spinale Muskelatrophie (SMA) gehört mit einer Inzidenz von 1:10.000 Geburten zu den seltenen genetischen Erkrankungen. In Deutschland sind dies ca. 80 Neugeborene pro Jahr. Unbehandelt erleben 9 von 10 Kindern mit SMA Typ 1 - ihrer schwersten Form - ihren 2. Geburtstag nicht oder müssen dauerbeatmet werden. Die Ursache ist der Defekt eines einzigen Gens. Die Gentherapie ist die einzige Therapie, die dieses Gen mit einer voll funktionsfähigen Kopie ersetzt, und so das Fortschreiten der Erkrankung stoppen kann. Die Behandlung erfolgt in einer einmaligen, einstündigen Infusion. Patienten in Europa steht zur Behandlung dieser seltenen und schwerwiegenden Erkrankung mit Erteilung der Marktzulassung durch die Europäische Kommission eine transformative neue Therapie – eine Einmal-Gentherapie – zur Verfügung.

Klinische Daten der neuen Gentherapie belegen ein längeres ereignisfreies Überleben und das Erreichen von motorischen Meilensteinen, die bei unbehandelten Patienten nie beobachtet wurden - und das, nach aktuell vorliegenden Daten, nachhaltig auch fünf Jahre nach Verabreichung. Bislang wurden etwa 500 Patienten weltweit behandelt.

Einmalige, an der genetischen Ursache ansetzende Therapien erfordern eine andere Betrachtungsweise als chronische Therapien. Sie bringen einen anderen Nutzen als chronische Therapien. Für die SMA liegen die geschätzten Gesamtbehandlungskosten in Europa bislang pro Kind allein in den ersten zehn Jahren zwischen 2,5 und 4 Mio. EUR<sup>1</sup>. Die Einmal-Gentherapie hat das Potential, lebenslange Therapien kosteneffektiv zu ersetzen. Im Laufe eines Patientenlebens können nicht nur hohe Kosten, sondern auch durch lebenslange intrathekale Injektionen erforderliche Klinikaufenthalte vermieden werden.

Basierend auf dem „Value-based Pricing“, das den hohen Nutzen für die Patienten, die Familien sowie die Vermeidung von Kosten für das Gesundheitssystem widerspiegelt, haben wir einen Wert von 1 945 000 € ermittelt. In Deutschland wird die Gentherapie in den kommenden Monaten den erforderlichen Nutzenbewertungsprozess (AMNOG) durchlaufen.

Gleichzeitig suchen wir gemeinsam mit den Partnern im Gesundheitswesen nach neuen Lösungen der Erstattung, die den schnellen Patientenzugang zu therapeutischen Innovationen fördern. Mehrere Verträge über erfolgsabhängige Erstattungsmodelle, die die Besonderheiten einer Gentherapie zur einmaligen Applikation berücksichtigen, wurden geschlossen. Dabei werden diverse für den Patienten relevante Outcome-Parameter berücksichtigt. AveXis übernimmt das Risiko, gestaffelt bis zu 100 Prozent der Arzneimittelkosten zurückzuzahlen.

Novartis investiert jährlich rund ein Fünftel des Nettoumsatzes in klinische Forschung und Entwicklung. Im Jahr 2019 waren dies 9,4 Mrd. USD<sup>2</sup>.

**Andrea Hofmaier, General Manager von AveXis Deutschland, kommentiert:** „Deutschland ist eines der ersten Länder weltweit, in dem die Gentherapie in Kürze als Behandlungsoption für SMA-Patienten zur Verfügung steht. Wir sind froh, dass wir den betroffenen Familien hierzulande eine innovative Gensatztherapie anbieten können, die einmal gegeben wird und die an der genetischen Ursache dieser schwerwiegenden Erkrankung ansetzt. Diese neue Technologie leitet eine neue Ära in der SMA-Behandlung ein und ist in vielerlei Hinsicht innovativ – auch in der Art der Erstattung. Wir wollen durch die Vereinbarung von erfolgsabhängigen Erstattungsmodellen die finanzielle Verantwortung mit den Krankenkassen gemeinsam tragen.“

1. Estim. 10-year cumulative SMA costs for major EU markets based on available data including local healthcare resource utilizations studies, local databases and public information from previous SMA therapy economic assessments, as of February 21, 2020.
2. Novartis Geschäftsbericht 2019

---

**Source URL:** <https://www.novartis.com/de-de/medien/pressemitteilungen/statement-zum-wert-von-gentherapie-bei-spinaler-muskelatrophie-deutschland>

#### **List of links present in page**

1. <https://www.novartis.com/de-de/de-de/medien/pressemitteilungen/statement-zum-wert-von-gentherapie-bei-spinaler-muskelatrophie-deutschland>