

DGM | Deutsche Gesellschaft für Muskelkranke e.V.
Bundesgeschäftsstelle | Im Moos 4 | D-79112 Freiburg

An
Novartis Pharma
Dr. Andrea Hofmaier
AveXis EU Ltd. Zweigniederlassung Deutschland
Regus
Terminalstraße Mitte 18

85356 München

Bundesgeschäftsstelle
Im Moos 4, D-79112 Freiburg

Telefon: 07665/9447-0
Fax: 07665/9447-20
E-Mail: info@dgm.org

Steuer-Ident-Nr. DE 142116296

www.dgm.org

sowie

**Initiative „Forschung und
Therapie für SMA“**

im Förderverein in der DGM e.V.

Freiburg, 6. Februar 2020

Behandlung mit Zolgensma®

Sehr geehrte Frau Dr. Hofmaier,
sehr geehrte Damen und Herren,

zunächst möchten wir betonen, dass wir Ihr Engagement in der therapeutischen Versorgung von SMA-Patienten grundsätzlich schätzen. Auch sehen wir Ihre Bemühungen, auf die derzeitige extrem unbefriedigende Situation zu reagieren.

Wie wir Ihnen bereits mitgeteilt und auch öffentlich bekundet haben, lehnen wir das zurzeit gültige Verfahren der Vergabe von Zolgensma® aus ethischen Gründen ab.

Wir sind überzeugt, dass sich die Vergabe des Medikaments bei begrenzten Ressourcen an medizinischen Kriterien der Dringlichkeit orientieren muss und nicht durch ein Zufallsverfahren entschieden werden darf. Die Vergabe eines nicht zugelassenen Medikaments im Rahmen eines Härtefallprogramms muss primär an diejenigen Betroffenen erfolgen, für die keine Standardtherapie zur Verfügung steht oder bei denen die Standardtherapie nicht wirksam ist.

Des Weiteren ist das von Ihnen etablierte Losverfahren für die betroffenen Familien mit enormen Hoffnungen und Enttäuschungen und damit völlig inakzeptablen psychischen Belastungen verbunden.

Die DGM e.V. und die Gesellschaft für Neuropädiatrie fordern deshalb, dass Sie das Medikament für den kleinen Kreis von Patienten, bei denen die Standardtherapie nicht zur Verfügung steht oder nicht wirksam ist, kostenlos zur Verfügung stellen. Wir sind bereit in einer Kommission von neuromuskulären Experten, Patientenvertretern und unabhängigen Ethikern die oben genannten Kriterien entsprechend zu prüfen.

Wir gehen davon aus, dass die Zahl der daraufhin zu behandelnden Patienten nicht sehr groß sein wird. Sollte die Ihrerseits zur Verfügung stehende Menge an Medikation hierfür nicht ausreichen, was für uns schwer vorstellbar ist, würden wir Sie auffordern, uns mitzuteilen wie viele Dosen Sie für diese

Indikationen zur Verfügung stellen können. Die Kommission würde sich dann der Aufgabe stellen, entsprechende Prioritäten in der Behandlung der Patienten festzulegen.

Die Behandlungszentren in Deutschland werden sicherstellen, dass die zugeteilten Therapien dann auch zeitnah durchgeführt werden können.

Wir halten die Begrenzung der Therapie auf Fälle, bei denen die Standardtherapie nicht eingesetzt werden kann oder nicht wirksam ist, für das einzig sinnvolle und ethisch vertretbare Verfahren in Bezug auf in Deutschland noch nicht zugelassene Medikamente.

Darüber hinaus sollten sich weder pharmazeutische Unternehmen, noch Krankenkassen oder Behandlungszentren an der Finanzierung oder Durchführung der Therapie beteiligen. Nur so kann für die betroffenen Familien eine Versorgungssicherheit geschaffen werden.

Wir fordern Sie auf, zeitnah die Behandlung der oben genannten Patientengruppe in Deutschland zu ermöglichen und bitten um entsprechende Rückmeldung.

Mit freundlichem Gruß



Dr. iur. S. Perschke
(DGM Vorstandsvorsitzender)



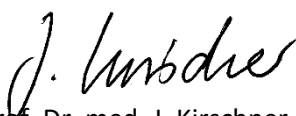
PD Dr. med. A. von Moers
(DGM-Vorstand)



Dr. med. I. Schwersenz
(Initiative SMA Vorstand)



J. Sproß
(DGM-Bundesgeschäftsführer)



Prof. Dr. med. J. Kirschner
Leiter SMARtCARE Register



Prof. Dr. med. U. Schara
Präsidentin Gesellschaft für Neuropädiatrie

Nachrichtlich an:

Bundesminister Jens Spahn
Paul-Ehrlich-Institut, Prof. Dr. K. Cichutek
Bfarm, Prof. Dr. K. Broich
G-BA, Prof. J. Hecken
GKV, Dr. A. Haas
MDK, Dr. L. Grell

Bank für Sozialwirtschaft Karlsruhe
IBAN: DE38 6602 0500 0007 7722 00 BIC: BFSWDE33KRL

Die DGM ist gemäß §§ 51 ff. AO ein gemeinnütziger Verein mit Sitz in Freiburg und ist damit berechtigt, Spendenbestätigungen für steuerliche Zwecke auszustellen.

 DER PARITÄTISCHE
UNSER SPITZENVERBAND

 achse
Allianz Chronischer Seltener Erkrankungen

 B.A.G
SELBSTHILFE