

ÖSTERREICHISCHE GESELLSCHAFT für Kinder- und Jugendheilkunde Arbeitsgruppe Neuropädiatrie



18.5.2018

Stellungnahme der AG Neuropädiatrie der ÖGKJ

Seit Juni 2017 ist eine Therapie mit Nusinersen/Spinraza[®] für die Behandlung der Spinalen Muskelatrophie (SMA) zugelassen, die sich als sehr wirksam gezeigt hat.

Bei der SMA handelt es sich um eine genetische Erkrankung mit fortschreitendem und irreversiblen Untergang von motorischen Vorderhornzellen im Rückenmark.

In ihrer schwersten Form (SMA I) tritt die SMA in Österreich bei 5-6 Neugeborenen pro Jahr auf, davon verstirbt der Großteil der unbehandelten Kinder in den ersten 24 Lebensmonaten.

Bei 2 - 3 Kindern pro Jahr tritt SMA mit Typ 2 (sitzfähig) und Typ 3 (gehfähig) auf. Bei unbehandelten Kindern mit SMA 2 kommt es häufig zur Notwendigkeit einer dauerhaften Atemunterstützung, die meisten Kinder mit Typ 3 verlieren die Gehfähigkeit bis zur Pubertät wieder.

In Österreich werden dzt. 45 Kinder mit Spinraza[®] behandelt. Der Verlauf der Erkrankung wird sorgfältig dokumentiert, ein internationales Anwendungsregister ist im Aufbau.

Die Kosten und notwendigen Rahmenbedingungen zur Durchführung der stationären Therapie (mit intrathekalen Gabe) belasten die Budgets der Krankenanstalten in einem ähnlichen Ausmaß wie aufwendige medikamentöse Tumorthérapien und Therapien bei seltenen angeborenen Stoffwechselerkrankungen.

In den österreichischen Bundesländern gibt es bislang keine einheitliche Vorgangsweise bei der Kostenübernahme.

Nachdem in den Medien (z.B. Artikel in der Kronenzeitung vom 30.4.2018 unter der Überschrift „Schicksal von Georg (12) bewegt das ganze Land“) nicht nur widersprüchliche, sondern zum Teil dezidiert falsche Stellungnahmen veröffentlicht wurden, ist es uns als neuropädiatrische Arbeitsgruppe der österreichischen Gesellschaft für Kinder- und Jugendheilkunde (ÖGKJ) ein großes Anliegen, dies richtig zu stellen:

1. Die Therapie der SMA mit Spinraza[®] war in den beiden in höchstrangigsten Fachzeitschriften (NEJM) veröffentlichten Studien bei der überwiegenden Mehrzahl der Patienten so erfolgreich, dass diese bereits vor Erreichen des

- geplanten Endzeitpunktes abgebrochen wurden, weil der Erkrankungsverlauf der Studienteilnehmer mit Spinraza[®] eindeutig besser war als jener der Studienteilnehmer mit Plazebo.
2. Daher wurde diese Therapie in der EU sowie in den USA und vielen weiteren Überseeländern für alle Altersgruppen und alle Schweregrade der SMA zugelassen.
 3. Der Benefit ist am größten für junge Patienten mit der schwersten Form dieser Erkrankung, aber ebenso eindeutig positiv für leichtere Formen der SMA und bei Patienten mit längerem Erkrankungsverlauf.
 4. Die wissenschaftliche Evidenz der verfügbaren Studien ist hoch (Evidenzgrad Ib)
 5. Es steht keine andere Therapie zur Verfügung.
 6. Chancen und Effektivität der Therapie mit Spinraza[®] für Patienten in weit fortgeschrittenem Krankheitsstadium mit schweren Dauerfolgen (z.B. Dauerbeatmung über 24h) sind aufgrund der aktuellen Datenlage schwer einzuschätzen, sodass in diesen Fällen nur individuell entschieden werden kann.
 7. Bei Fortschreiten der SMA unter Therapie Spinraza[®] muss ein Abbruch der Therapie erwogen werden.

Es ist der AG Neuropädiatrie innerhalb der Fachgesellschaft für Kinder- und Jugendheilkunde ein großes Anliegen, dass Therapieentscheidungen bei Patienten mit SMA trotz Kostendrucks im Gesundheitssystem über die Bundesländergrenzen hinweg objektiv und auf Basis der international verfügbaren wissenschaftlichen Daten sowie unter Berücksichtigung der Empfehlung der betreuenden Expertinnen gemäß dem ethisch verpflichtenden Gleichheitsprinzip getroffen werden.

(Dieses Statement wurde innerhalb der gesamten AG Neuropädiatrie akkordiert und vom Präsidium der ÖGKJ befürwortet.)

Manuela Baumgartner
Leiterin der AG Neuropädiatrie

manuela.baumgartner@ordensklinikum.at

Edda Haberlandt
Schriftführerin

edda.haberlandt@dornbirn.at

Günther Bernert
Leiter der Expertengruppe für
Neuromuskuläre Erkrankungen

Daniela Karall
Präsidentin der Gesellschaft für
Kinder – und Jugendheilkunde