

Schweizer Behörden erteilen Zulassung für erste Therapie gegen spinale Muskelatrophie (SMA)

Zug, 27. September 2017 – Swissmedic, die Schweizerische Zulassungs- und Aufsichtsbehörde für Heilmittel, erteilt die Marktzulassung für die erste Therapie zur Behandlung der 5q-assoziierten spinalen Muskelatrophie (SMA)¹. SMA ist eine seltene Erkrankung. Sie zählt zu den häufigsten genetisch bedingten Todesursachen bei Säuglingen und Kleinkindern. Mit dem neuen Wirkstoff Nusinersen wird SMA nun erstmals behandelbar.

«Wir freuen uns gemeinsam mit den SMA-Patienten und ihren Familien in der Schweiz über die Zulassung der neuen Behandlungsmöglichkeit», erklärt Natascha Schill. Die Geschäftsführerin von Biogen Switzerland betont: «Biogen will das Leben der SMA-Patienten verbessern. Deshalb arbeiten wir eng mit Ärzten und medizinischen Fachkräften, Patientenorganisationen und Behörden zusammen. Wir wollen so sicherstellen, dass der Zugang zu dieser Therapie schnellstmöglich gewährt wird.»

Spinraza (Wirkstoff Nusinersen) ist die erste in der Schweiz zugelassene Therapie der SMA. Die Prüfung durch Swissmedic erfolgte im Rahmen eines beschleunigten Beurteilungsverfahrens. Dieses Verfahren will Patienten mit ungedecktem Behandlungsbedarf einen schnelleren Therapiezugang ermöglichen.

SMA – lebensbedrohliche Erkrankung für Kleinkinder und Säuglinge

SMA ist eine seltene genetische Erkrankung. Sie ist gleichzeitig eine der häufigsten genetisch bedingten Todesursachen bei Kleinkindern und Säuglingen. Bei erkrankten Personen werden Nervenzellen in der Wirbelsäule abgebaut, welche die Muskeln steuern. Der Abbau dieser als Motoneuronen bezeichneten Nervenzellen führt zu einer schweren, fortschreitenden Schwäche der Muskulatur. Bei der schwersten, lebensbedrohlichen Form (infantile SMA) kommt es zu Lähmungen und Ausfällen von Muskelgruppen, die an grundlegenden Lebensfunktionen wie dem Atmen oder dem Schlucken beteiligt sind. Patienten mit dieser Form erlangen zudem nie die Fähigkeit, ohne Hilfe zu sitzen. Bei der später einsetzenden Form der SMA treten Symptome nach dem 6. Lebensmonat auf. Diese Patienten können motorische Meilensteine erreichen – verlieren diese oft über die Zeit wieder was zu tiefgreifende Auswirkungen auf das Leben der Betroffenen und Angehörigen führt.

Neue Hoffnung für SMA-Patienten und Angehörige

«Die klaren Verbesserungen beim Erreichen von motorischen Meilensteinen, die in den Studien gezeigt werden konnten und das günstige Nebenwirkungsprofil sprechen für die Wirksamkeit und die Sicherheit einer Behandlung mit Nusinersen an SMA-Patienten», unterstreicht PD Dr. Andrea Klein, Leitende Ärztin Neuropädiatrie am Universitätsspital Basel und am Inselspital Bern. «Dieses neue Medikament gibt Patienten sowie deren Angehörigen erstmals Anlass zur Hoffnung. Es konnte gezeigt werden, dass Säuglinge und Kleinkinder unter Nusinersen sitzen, krabbeln, stehen und laufen lernen können.»

Klinische Studien zur Überprüfung der Wirksamkeit und Sicherheit

Biogen Inc. (NASDAQ: BIIB) hat die weltweiten Rechte an der Entwicklung, der Herstellung und dem Vertrieb von Nusinersen von Ionis Pharmaceuticals, Inc. (NASDAQ: IONS), einem führenden Unternehmen bei Antisense-Therapeutika, einlizenziert. Biogen Inc. und Ionis Pharmaceuticals, Inc. führten ein innovatives klinisches Entwicklungsprogramm durch. Zwischen der ersten Anwendung von Nusinersen am Menschen im Jahr 2011 und der ersten behördlichen Zulassung im Jahr 2016 lagen gerade einmal fünf Jahre.

Nusinersen ist bereits in der Schweiz, in den USA, der EU, Brasilien, Japan und Kanada zugelassen, Biogen stellt Zulassungsanträge in weiteren Ländern.

Über Spinale Muskelatrophie²⁻⁶

Die spinale Muskelatrophie ist eine genetisch bedingte Krankheit. Sie ist gekennzeichnet durch den Verlust von Motoneuronen im Rückenmark und im unteren Hirnstamm. Motoneuronen sind Nervenzellen, die die Muskeln steuern. Ihr Rückgang führt zu einer schweren, fortschreitenden Schwäche und Atrophie der abhängigen Muskulatur. Bei der schwersten SMA-Form (infantile SMA) kommt es zu Lähmungen und Ausfällen der Muskelgruppen, die an grundlegenden Lebensfunktionen wie dem Atmen oder dem Schlucken beteiligt sind.

Bei SMA wird aufgrund eines Verlusts oder Defekts des Gens SMN1 nicht ausreichend SMN-Protein (SMN: Survival of Motor Neuron) gebildet. Dieses Protein ist für das Überleben von Motoneuronen von zentraler Bedeutung. Der Schweregrad der SMA korreliert mit der verbleibenden Menge an SMN-Protein, die gebildet wird. Patienten mit infantiler SMA, die den höchsten Bedarf an intensivmedizinischen und unterstützenden Behandlungen haben, bilden sehr wenig SMN-Protein. Sie erlangen nie die Fähigkeit, ohne Hilfe zu sitzen, und erreichen nur mit maschineller Beatmung ein Alter von mehr als zwei Jahren. Patienten mit späterem Krankheitsbeginn bilden grössere Mengen des SMN-Proteins. Bei ihnen ist die Erkrankung weniger stark ausgeprägt; sie verlieren die im Laufe ihres Lebens schon erworbenen motorischen Meilensteine wieder, was tiefgreifende Auswirkungen auf ihr Leben hat.

Medienkontakt

Markus A. Ziegler, Director Corporate Affairs Schweiz

Telefon: +41 41 728 74 36

E-Mail: switzerland.media@biogen.com

Über Biogen

Biogen nutzt modernste wissenschaftliche und medizinische Erkenntnisse zur Erforschung, Entwicklung und Produktion innovativer Therapien für Menschen mit schweren neurologischen und neurodegenerativen Erkrankungen. Biogen wurde 1978 in Genf gegründet. Das führende biotechnologische Unternehmen verfügt über ein einzigartiges Portfolio von Medikamenten zur Behandlung von Multipler Sklerose. In den USA, der Europäischen Union, Brasilien, Japan, Kanada und der Schweiz USA und der Europäischen Union bietet es die einzig zugelassene Therapie zur Behandlung der spinalen Muskelatrophie an. Und Biogen hat eine führende Stellung in der neurologischen Forschung in Bereichen wie der Alzheimer und der Parkinson-Krankheit sowie amyotropher Lateralsklerose. Biogen produziert und vermarktet auch Biosimilars fortgeschrittener Biopharmazeutika.

In Zug befindet sich der Internationale Hauptsitz von Biogen. Das Unternehmen baut derzeit eine neue hochmoderne biopharmazeutische Produktionsanlage in Luterbach bei Solothurn.

Weitere Informationen: www.biogen-international.com

Informationen zur neuen biopharmazeutischen Produktionsanlage: www.biogen-solothurn.ch

Folgen Sie uns auf sozialen Medien: [Twitter](#), [LinkedIn](#), [Facebook](#), [YouTube](#).

Quellen

- 1 Swissmedic Fachinformation Spinraza®, Stand: September 2017.
- 2 Darras B et al. Spinal Muscular Atrophies. In: Vivo BTB (Hrsg.): Neuromuscular Disorders of Infancy, Childhood, and Adolescence (2. Auflage). San Diego: Academic Press; 2015: 117-145.
- 3 Lefebvre S et al. Cell. 1995; 80(1): 155-165.
- 4 Mailman MD et al. Genet Med. 2002; 4(1): 20-26.
- 5 Monani UR et al. Hum Mol Genet. 1999; 8(7): 1177-1183.
- 6 Peeters K et al. Brain. 2014; 137(Pt 11): 2879-2896.

Zukunftsgerichtete Aussagen

Diese Pressemitteilung enthält zukunftsgerichtete Aussagen. Diese Aussagen können durch Wörter wie «vermuten», «glauben», «schätzen», «erwarten», «prognostizieren», «möglicherweise» sowie ähnliche Wörter und Formulierungen gekennzeichnet sein. Zukunftsgerichtete Aussagen sollten nicht als verlässliche Informationen bewertet werden. Solche Aussagen sind immer mit Risiken und Unwägbarkeiten behaftet, die zu einem Abweichen der tatsächlichen Ergebnisse von den zum Ausdruck gebrachten Erwartungen führen können. Dies kann unter anderem folgende Punkte betreffen: das Erfüllen klinischer Studienendpunkte, die Erteilung von Zulassungen, das Auftreten unerwünschter sicherheitsrelevanter Ereignisse, Wettbewerbsbedingungen, die Sicherstellung von Kostenerstattungen, nachteilige Markt- und Wirtschaftsbedingungen, Probleme mit Herstellungsverfahren, Abhängigkeiten von Dritten, die Nichterfüllung regulatorischer Auflagen inklusive Nachteilen durch Änderungen derselben, den wirksamen Schutz unseres geistigen Eigentums und die dabei entstehenden Kosten sowie die sonstigen Risiken und Unwägbarkeiten, die im aktuellen Quartals- oder Jahresbericht sowie in anderen Berichten aufgeführt sind, die bei der US-Börsenaufsichtsbehörde SEC eingereicht wurden. Die getroffenen Aussagen beruhen auf aktuellen Annahmen und Erwartungen und geben nur den Stand mit Datum dieser Pressemitteilung wieder. Biogen unterliegt keiner Verpflichtung zur öffentlichen Aktualisierung der in der Presseinformation enthaltenen zukunftsgerichteten Aussagen.