

# Zolgensma® bei Spinaler Muskelatrophie Typ 1

Stand Dezember 2020



## SMA

Die Spinale Muskelatrophie (SMA) ist eine erblich bedingte neuromuskuläre Erkrankung, die von beiden Elternteilen auf ihr Kind übertragen wird. Sie betrifft in etwa eines von 10.000 Neugeborenen, jede 35. Person in der Bevölkerung ist Anlageträger\*in für SMA. Je nachdem, welche motorischen Entwicklungsstufen das Kind erreicht, wird die SMA in vier Typen unterteilt, wobei Typ 1 die schwerste Verlaufsform ist. Erkrankte Kinder sterben meist innerhalb der ersten zwei Lebensjahre. Aufgrund eines defekten Gens, des SMN1-Gens (Survival-of-Motoneurons) fehlt ein Protein, das für den Erhalt der Motoneuronen im Rückenmark nötig ist. Dadurch gehen die Nervenzellen rasch zugrunde. Impulse aus dem Gehirn können nun nicht mehr an die Muskeln weitergeleitet werden, so dass sich die Muskulatur nicht richtig entwickeln kann bzw. degeneriert. Da auch die Atemmuskulatur von dem Muskelschwund betroffen ist, sterben die Kinder frühzeitig an einer Ateminsuffizienz.

## Zolgensma®

Das Gentherapeutikum Zolgensma® des Schweizer Pharmakonzerns Novartis ermöglicht mit nur einer einzigen Spritze direkt in die Blutbahn mittels Genfähren das Einschleusen einer Kopie des funktionsfähigen SMN1-Gens in die Motoneuronen des Rückenmarks und das bei relativ geringen Nebenwirkungen. Da sich die bei der SMA betroffenen Nervenzellen nicht mehr teilen, ist die Wirkung der Spritze sehr langanhaltend. Die mit Zolgensma® behandelten Kinder entwickeln sich deutlich besser. Es treten weniger ausgeprägte Lähmungen auf und die Notwendigkeit einer maschinellen Beatmung kann für viele Jahre hinausgezögert werden. Somit wird die Krankheit durch Zolgensma® zwar nicht geheilt aber der Verlauf doch signifikant verlangsamt. Das Medikament ist in den USA seit Mai 2019 für die Behandlung von Kindern unter 2 Jahren zugelassen. In Europa erhielt Zolgensma® durch die Europäische Arzneimittel-Agentur EMA Ende Mai eine bedingte Zulassung, so dass es seit dem 01.07.2020 auch in Deutschland verordnet werden kann.

## Ethische Gesichtspunkte

In Deutschland ist das Genmedikament aufgrund seiner extrem hohen Kosten von 1,9 Millionen Euro pro Behandlung umstritten. Der Preis ist u.a. natürlich den hohen Entwicklungskosten geschuldet. Auch muss man dankbar sein, dass es überhaupt ein Pharmaunternehmen gibt, das für eine so selten auftretende Erbkrankheit Forschungsgelder in die Hand nimmt. Dennoch stellt sich die Frage, wie viel ein Menschenleben wert ist, wie viel ein paar geschenkte Jahre, wie viel die Hoffnung auf Heilung. Wer will das quantifizieren? Außerdem gibt es noch ein anderes Medikament mit einer großen Wirkung: Spinraza®, das seit dem 01.07.2017 in Deutschland zugelassen ist. Die Behandlung ist allerdings mit vier Injektionen in den Liquorraum des Wirbelkanals zu Beginn und weiteren Injektionen alle vier Monate verbunden. Die Kosten sind jedoch niedriger als für eine Behandlung mit Zolgensma®.

Perspektivwechsel: Man stelle sich eine junge Mutter vor, die ihr neugeborenes Baby in den Armen hält, froh, die Strapazen der Geburt gut überstanden zu haben. Nach ein paar Routineuntersuchungen kommt der Arzt und sagt: Ihr Kind ist krank, es wird vermutlich seinen dritten Geburtstag nicht erleben. Sein extrem kurzes Leben wird mit erheblichen Einschränkungen einher gehen. Es wird viel Zeit bei Ärzt\*innen und in Krankenhäusern verbringen und mit nicht einmal 2 Jahren auf Beatmung angewiesen sein. Man stelle sich weiter vor, dass ein Medikament gibt, das ihrem Kind helfen wird, dieses aber zu teuer ist, um es von der Krankenkasse bewilligt zu bekom-

men. Soll das Überleben ihres Kindes tatsächlich eine Frage des Geldes sein? Wir finden: nein. Selbst wenn die Spritze keine Heilung verspricht, so verlängert sie doch das Leben des Kindes in ganz beträchtlichem Maß. Ein längeres Leben bei einer vererbten Muskelerkrankung bedeutet vor allem Eines: Hoffnung! Darauf, dass in der Zeit, die das Kind durch Zolgensma® gewinnt, die Forschung weitere Fortschritte macht und neue Medikamente entwickelt werden, die vielleicht eine Heilung möglich machen.

Die Deutsche Muskelschwund-Hilfe spricht sich für die Verordnung von Zolgensma® aus. Alle Menschen haben ein Recht auf Leben, auch jene, die an SMA Typ 1 leiden. Und Eltern haben ein Recht auf Hoffnung, dass ihr Kind noch viele Geburtstage erleben wird.

**Kontakt:**

Deutsche Muskelschwund-Hilfe e.V.  
Alstertor 20  
20095 Hamburg  
040/323231-0  
[info@muskelschwund.de](mailto:info@muskelschwund.de)  
[www.muskelschwund.de](http://www.muskelschwund.de)