



11. April 2018

IV-Rundschreiben Nr. 373

Kostenübernahme von Spinraza® (Nusinersen)

Spinale Muskelatrophie (SMA) ist eine autosomal rezessive genetische Erkrankung. Bei an SMA leidenden Patienten liegt ein verändertes SMN1-Gen (SMN = survival motor neuron) vor oder es fehlt komplett. Dieses Gen ist verantwortlich für die Produktion des SMN-Proteins, welches für die Funktion resp. das Erhalten der Motoneuronen verantwortlich ist. Liegt der Defekt vor, kommt es zu einem Absterben der Motoneuronen und somit zu fehlender Steuerung der Muskeln und einem Muskelschwund.

Laufen, Krabbeln, Sitzen, Kopfkontrolle und Schlucken werden für Betroffene, falls sie es je erlernt haben, mit Fortschreiten der SMA zunehmend schwieriger. Je länger die Krankheit dauert, desto eher sind Betroffene auf eine Unterstützung bei der Atmung angewiesen.

Der Körper verfügt über ein weiteres Gen das bei der Bildung des SMN-Protein mitwirkt: Es handelt sich um das SMN2-Gen. Dieses „produziert“ zwar das SMN-Protein ebenfalls, jedoch in deutlich geringeren Mengen. Hier setzt der Wirkstoff Nusinersen an, indem es die Produktion des SMN-Proteins via das SMN2-Gen fördert.

Es werden fünf SMA-Typen unterschieden:

- SMA Typ 0: pränatale SMA;
- SMA Typ I: akute infantile SMA (Werdnig-Hoffmann);
- SMA Typ II: Chronisch infantile oder intermediäre SMA;
- SMA Typ III: juvenile SMA (Kugelberg-Welander);
- SMA Typ IV: adulte SMA.

Diese unterscheiden sich hinsichtlich Zeitpunkt des Eintritts der Erkrankung sowie des Schweregrades, wobei Typ 0 die schwerste und Typ IV die mildeste Form der SMA bilden. Die sogenannten präsymptomatischen Patienten können keinem Typ zugeordnet werden, weil bei ihnen zwar die SMA (verändertes SMN1-Gen) diagnostiziert ist, jedoch noch keine Krankheitszeichen ersichtlich sind.

Die Firma Biogen Switzerland AG vertreibt das Arzneimittel Spinraza®. Das Arzneimittel ist in der Schweiz seit dem 20. September 2017 zugelassen (Swissmedic-Code 66495). Anhand der Resultate der bestehenden Studien und der aktuellen Datenlage kann davon ausgegangen werden, dass das Präparat bei 5q-assoziiierter SMA wirksam ist und das Ausmass an Zusatznutzen bei SMA-Typ I als erheblich, bei SMA-Typ II beträchtlich und bei SMA-Typ III gemäss aktuellem Kenntnissstand ausreichend ist. Dasselbe gilt auch für sog. präsymptomatische Patienten. Für SMA-Typen 0 und IV liegen aktuell keine genügend auswertbaren Daten vor.

Die IV übernimmt die Kosten für das Präparat Spinraza® (Nusinersen) bei präsymptomatischen SMA-Patienten sowie SMA-Patienten mit Typ I, II oder III zum Preis (Publikumspreis) CHF 92'778.50 pro Flasche (Durchstechflasche mit 12mg/5ml Abgabekategorie A). Die Behandlung umfasst im ersten Jahr 6 Injektionen, ab dem folgenden Jahr 3 Injektionen.

Handhabung bei bereits eingereichten Kostengutsprachegesuchen:

Sollte ein früheres Kostengutsprachegesuch rechtskräftig abgelehnt worden sein, ist ein neues Kostengutsprachegesuch einzureichen. Die IV übernimmt die Kosten der Behandlung ab Eingang des zweiten Kostengutsprachegesuchs gemäss Kostenregelung im vorliegenden Rundschreiben.

Bei noch hängigen Verfahren gilt die Kostenregelung gemäss vorliegendem Rundschreiben.

Bei allfälligen Vorleistungen von Krankenversicherern erfolgt die Rückabwicklung gemäss der geltenden Praxis zwischen der betroffenen Krankenversicherung und der zuständigen IV-Stelle.

Wir weisen darauf hin, dass eine Behandlung insbesondere bei Patienten mit SMA Typ I, bei präsymptomatischen Patienten sowie neu diagnostizierten Patienten mit SMA Typ II rasch erfolgen sollte, weshalb die IV-Stellen ersucht werden, entsprechende Gesuche prioritär zu behandeln.

Limitatio:

Folgende Bedingungen (Limitatio) müssen für eine Behandlung berücksichtigt werden und sind den behandelnden Fachärzten von der IV-Stelle mitzuteilen:

Limitatio
Nach Kostengutsprache durch den Krankenversicherer, bzw. durch die IV-Stelle nach vorgängiger Konsultation des Vertrauensarztes bzw. RAD.
Zur Behandlung der 5q-assoziierten spinalen Muskelatrophie (SMA). Dokumentierung von homozygoter Deletion, homozygoter Mutation oder komplexer Heterozygotie (z.B. Deletion von SMN1 exon 7 [Allel 1] und Mutation von SMN1 [Allel 2] mit mindestens 2 Kopien des SMN2 Gens).
Bei präsymptomatischen Patienten: <ul style="list-style-type: none">• SMN2-Kopien \geq 2.
Bei SMA-Typ I (infantile Form): <ul style="list-style-type: none">• SMN2-Kopien \geq 2.• Beginn der Symptome und der klinischen Zeichen \leq 6 Monate (180 Tage).
Bei SMA mit späterem Krankheitsbeginn (Typ II und III): <ul style="list-style-type: none">• SMN2-Kopien \geq 2.• Beginn der Symptome $>$ 6 Monaten.
Spinraza darf nur in Spital-basierten, spezialisierten neuromuskulären Zentren verabreicht werden. Das behandelnde medizinische Personal muss zwingend Erfahrung mit der Diagnostik und der Behandlung von Patienten mit spinaler Muskelatrophie und in der Durchführung von Lumbalpunktionen haben.
Der behandelnde Arzt ist verpflichtet, die erforderlichen Daten laufend im schweizerischen SMA Register zu erfassen, dazu ist eine schriftliche Einwilligung des Patienten notwendig.
Ein spezifischer Antrag für Verlängerung der Behandlung nach 12 Monaten ist vom behandelnden Arzt zu erstellen und der IV-Stelle erneut vorzulegen.
Alle mit Spinraza behandelten Patienten werden vom behandelnden Facharzt im spezialisierten Zentrum regelmässig nach den Beurteilungsparameter bzw. nach dem Ansprechen auf das Präparat untersucht, dabei werden dem Alter und motorischen Fähigkeiten entsprechend Assessments durchgeführt (u.a. CHOP-INTEND, HINE, HFMSE, RULM, 6MWT) und die Lungenfunktion beurteilt.
Die Untersuchungen erfolgen bei Behandlungsbeginn, nach 2 Monaten und danach alle 4 Monate.
Die Endpunkte der Therapie werden definiert und die Behandlung wird abgebrochen: <ul style="list-style-type: none">• Bei frühem Krankheitsbeginn (SMA-Typ I) sowie präsymptomatischen Patienten:<ul style="list-style-type: none">○ Bei neu diagnostizierten Patienten, bei denen nach der 6. Dosis (nach 10 Monaten) keine Verbesserung des Gesundheitszustandes festzustellen ist.○ Bei einer Messung mittels HINE-Skala: wenn bei neu diagnostizierten Patienten innert 10 Monaten keine Verbesserung um mind. 2 Punkte in der Kategorie Fähigkeit zu treten oder Erreichen des Höchstwertes in dieser Kategorie (Zehen berühren) oder Verbesserung um einen Punkt in der Kategorie Kopfkontrolle, Drehen, Sitzen, Krabbeln, Stehen oder Gehen auftritt UND wenn keine Verbesserung (wie oben

<p>definiert) in mehr Items (Ausnahme: bewusstes Greifen) als eine Verschlechterung festzustellen ist. Für die Kategorie „Fähigkeit zu treten“ gilt, dass eine Abnahme um mindestens 2 Punkte oder auf den Wert 0 erfolgen muss, damit dies als Verschlechterung gilt.</p> <ul style="list-style-type: none"> ○ Bei einer Messung mittels CHOP-INTEND-Skala: wenn bei neu diagnostizierten Patienten innert 10 Monaten keine Verbesserung um mindestens 4 Punkte festzustellen ist. ○ Verschlechterung des Gesundheitszustandes und/oder der motorischen Funktionen (gemessen anhand geeigneter klinischer Assessments wie z.B. CHOP-INTEND oder HINE) bei mindestens zwei aufeinanderfolgenden Messungen nach Aufwärmphase ohne alternative Begründung für die Verschlechterung.
<ul style="list-style-type: none"> • Bei späterem Krankheitsbeginn (SMA-Typ II und III): <ul style="list-style-type: none"> ○ Reduktion der Hammersmith Functional Motor Scale Expanded (HFMSSE) oder anderer relevanter Kriterien (Revised Upper Limb Module (RULM), 6 Minuten Gehstest (6MWT)) bei mindestens zwei aufeinanderfolgenden Messungen nach 10 Monaten Therapie ohne alternative Begründung für die Verschlechterung.
<p>Ausgeschlossen sind:</p>
<ul style="list-style-type: none"> • SMA-Typ 0 und IV sowie alle spinalen und neuralen Muskelatrophien, die nicht auf eine Gendelektion oder-mutation auf Chromosom 5q zurückzuführen sind. • Patienten mit Komorbiditäten, die eine Lumbalpunktion verhindern oder Patienten mit Komorbiditäten, bei denen eine Lumbalpunktion eine Gesundheitsgefährdung zur Folge haben könnte (Erhöhung des Hirndrucks, Störung der Blutgerinnung, Wirbelmissbildungen, Störung der Zirkulation der zerebrospinalen Flüssigkeit oder weitere Krankheiten des Gehirnes oder Rückenmarkes).

Bei allfälligen Fragen zur Limitatio steht das BSV zur Verfügung.