

Sitzung vom 22. August 2018

746. Anfrage (Therapie-Zugang für SMA-Betroffene und Betroffene von anderen seltenen Erkrankungen)

Die Kantonsräte Thomas Forrer, Erlenbach, und Lorenz Schmid, Männedorf, sowie Kantonsrätin Kathy Steiner, Zürich, haben am 11. Juni 2018 folgende Anfrage eingereicht:

Präparate zur Behandlung von seltenen Erkrankungen sind bei der Einführung oft sehr teuer, wodurch der Zugang für Betroffene stark erschwert, wenn nicht sogar verhindert wird. So auch bei der Spinalen Muskelatrophie (SMA). Seit kurzem gibt es eine erste, wirksame Therapie für SMA-Betroffene: Im April 2018 hat das EDI im IV-Rundschreiben Nr. 373 mitgeteilt, dass die Behandlung mit dem Präparat Spinraza® bis zum 20. Lebensjahr der SMA-Betroffenen durch die IV vergütet wird. Damit bleibt für SMA-Betroffene, die heute bereits 20 Jahre oder älter sind, der Zugang zu einer Behandlung in den allermeisten Fällen verwehrt. Entscheidend ist bei ihnen nicht mehr, ob eine Therapierung erfolgversprechend ist, sondern nur noch, dass sie vor 1998 geboren sind. Diese administrative Grenze ist für viele sehr frustrierend angesichts der Tatsache, dass erstmals ein wirksames Präparat zugelassen worden ist.

SMA ist eine relativ häufige seltene Erkrankung. Aufgrund eines «Gen-Defektes» wird ein bestimmtes Protein, das SMN-Protein, nicht in genügender Menge produziert. Dadurch erkranken die Nervenzellen, was in der Folge zu kontinuierlichem Muskelschwund führt. Selbst grundlegende Bewegungen wie Laufen, Krabbeln, Kopfkontrolle, Schlucken und schliesslich auch die Atmung werden zunehmend schwieriger. Die Erkrankung kann in früher Kindheit, aber auch erst im Erwachsenenalter beginnen.

Im September 2017 wurde das Präparat Spinraza® der Zuger Firma Biogen zur Behandlung von SMA in der Schweiz zugelassen. Seine Wirksamkeit wurde in klinischen Studien deutlich aufgezeigt. Da Spinraza nicht auf der Spezialitätenliste des BAG ist, besteht für die Krankenkassen keine Verpflichtung, für die Behandlung aufzukommen. Erwachsene SMA-Betroffene müssen Anträge im Einzelfallverfahren (nach Art. 71b KVV) stellen. Je nach Krankenkasse, Anwalt und Verhandlungsgeschick mit der Herstellerin werden die Kosten in vereinzelt Fällen übernommen – in der Regel jedoch nicht. Für die Betroffenen ist dies zermür-

bend, da sie trotz vorhandener Therapiemöglichkeit zusehen müssen, wie der Abbauprozess an ihrem Körper fortschreitet. Die Kosten von rund 600 000 Franken im ersten Behandlungsjahr und bei weiterer Behandlung von rund 300 000 Franken pro Jahr sind privat nicht finanzierbar.

Oft wird beobachtet, dass Menschen mit SMA sehr kontaktfreudig und auffallend geistig wach sind. Viele haben sich seit der Zulassung von Spinraza in den Medien zu Wort gemeldet und am eigenen Beispiel erläutert, wie bedeutsam eine Therapie für sie ist. Auch bei fortgeschrittener Krankheit ist es zum Beispiel möglich, dass SMA-Betroffene in den Wissenschaften beschäftigt werden, da sie ungewöhnlich konzentriert arbeiten können.

Die unbefriedigende Situation für erwachsene SMA-Betroffene stellt grundsätzlich vor die Frage, wie bei seltenen Erkrankungen, gerade in den ersten Jahren nach Einführung einer teuren Therapie, der Zugang für die Betroffenen verbessert bzw. gewährleistet werden kann.

In diesem Zusammenhang bitten wir den Regierungsrat um die Beantwortung folgender Fragen:

1. Mit der aktuellen Regelung bleiben – aufgrund der Altersgrenze von 20 Jahren – eine bis zwei Generationen von SMA-Betroffenen von einem Therapiezugang grösstenteils ausgeschlossen. Wie beurteilt der Regierungsrat diesen Umstand?
2. Wie viele Menschen mit SMA leben im Kanton Zürich und wie viele sind heute über 20 Jahre alt?
3. Wie können SMA-Betroffene, die heute bereits das 20. Lebensjahr überschritten haben, Zugang zu einer Therapie insbesondere zu einer Behandlung mit Spinraza erhalten, wenn ihre Krankenkasse die Kostenübernahme abgelehnt hat und sie eine Behandlung privat nicht finanzieren können? Verfügt der Kanton über besondere rechtliche oder finanzielle Möglichkeiten?
4. Wie verhält sich der Regierungsrat zur Einrichtung eines kantonalen (oder nationalen) Fonds für seltene Erkrankungen, um den Zugang zu Therapien insbesondere in der ersten Zeit nach Zulassung eines neuen Präparats oder einer neuen Behandlungsmöglichkeit zu verbessern bzw. zu gewährleisten? Und gibt es andere wirksame Instrumente, welche der Regierungsrat für geeignet hält?

Auf Antrag der Gesundheitsdirektion

beschliesst der Regierungsrat:

I. Die Anfrage Thomas Forrer, Erlenbach, Lorenz Schmid, Männedorf, und Kathy Steiner, Zürich, wird wie folgt beantwortet:

Die spinale Muskelatrophie (SMA) ist eine genetische Krankheit, die mit Lähmungen und Muskelschwund (Atrophie) einhergeht. In mehr als 95% der Fälle ist eine Variante des sogenannten Survival-Motor-Neuron-(SMN1-)Gens auf Chromosom 5 für die Erkrankung verantwortlich. Dadurch wird ein Protein, das für die Funktion der motorischen Nervenzellen im Rückenmark wichtig ist, vermindert gebildet, sodass es zu einem Absterben dieser Nervenzellen kommt. Da dadurch Nervenimpulse nicht mehr an die Muskeln weitergeleitet werden, kommt es zu einem Abbau der Muskulatur. Betroffen sind insbesondere die unteren Extremitäten und die Atemmuskulatur.

Die SMA kann unterschiedlich ausgeprägt sein und wird in Abhängigkeit von Manifestationsalter und Krankheitsschwere in unterschiedliche Typen eingeteilt:

- *Typ 0 (pränatale SMA)*: Schon in utero fallen verminderte Kindsbewegungen auf und bei der Geburt besteht bereits eine schwere Muskelschwäche. Die Lebenserwartung beträgt höchstens einige Monate.
- *Typ I (Werdnig-Hoffmann, akute infantile SMA)*: 60% aller neuen SMA-Fälle sind Typ-I-Fälle. Die Kinder zeigen in den ersten Lebensmonaten bereits Symptome, die rasch zunehmend sind. Die Prognose ist bei dieser Gruppe sehr eingeschränkt; die betroffenen Patientinnen und Patienten werden in der Regel nicht 20-jährig, 95% von ihnen versterben innerhalb der ersten 2 Lebensjahre.
- *Typ II (chronisch infantile, intermediäre SMA)*: Die Krankheit zeigt sich bei diesen Patientinnen und Patienten meist ab der zweiten Hälfte des ersten Lebensjahres. Sie erlernen in der Regel verzögert das Sitzen, erlangen aber nie die unabhängige Gehfähigkeit. Die Lebenserwartung ist unterschiedlich und wird durch Atemkomplikationen eingeschränkt. Etwa 75–90% der Betroffenen werden älter als 20-jährig und erreichen die 3.-4. Lebensjahrzehnt. Die Prävalenz (Anzahl lebender Personen mit dieser Krankheit zu einem bestimmten Zeitpunkt) wird auf etwa 1 : 70 000 Personen geschätzt (Orphanet).
- *Typ III (Kugelberg-Welander, juvenile SMA)*: Der Symptombeginn ist sehr variabel. Die Patientinnen und Patienten erlernen das Laufen, fallen aber durch eine Beinschwäche auf. Eine Zunahme der Muskelschwäche und Rollstuhlabhängigkeit ist möglich. Die Lebenserwartung dieser Personen ist in der Regel nicht eingeschränkt. Die Prävalenz wird auf etwa 1 : 375 000 geschätzt.

- *Typ IV (adulte SMA)*: Die Krankheit zeigt sich im Erwachsenenalter (2.–3. Lebensjahrzehnt). Die Ausprägung der Muskelschwäche ist in dieser Gruppe am geringsten, die Lebenserwartung der Patienten normal. Die Prävalenz wird auf 1:300 000 geschätzt.

Das SMN-Protein wird zusätzlich durch ein weiteres Gen, das SMN2-Gen gebildet, jedoch in deutlich geringerem Ausmass. Dieses Gen kann in unterschiedlicher Anzahl vorliegen, was unter anderem zur unterschiedlichen Ausprägung der Krankheit beiträgt. Zum Beispiel haben Patientinnen und Patienten mit SMA Typ I nur eine oder zwei SMN2-Kopien und Patientinnen und Patienten mit SMA Typ II im Mittel drei SMN2-Kopien. Das Medikament Spinraza® mit dem Wirkstoff Nusinersen setzt an diesem SMN2-Gen an, mit dem Ziel, die SMN-Protein-Produktion zu fördern. Spinraza® ist seit September 2017 in der Schweiz zugelassen.

Zu Frage 1:

Die Invalidenversicherung (IV) übernimmt gemäss Art. 13 Abs. 1 des Bundesgesetzes über die Invalidenversicherung (SR 831.20) bei Versicherten mit Geburtsgebrechen bis zum vollendeten 20. Altersjahr die notwendigen medizinischen Massnahmen. Gemäss Art. 35 der Verordnung über die Krankenversicherung (KVV, SR 832.101) übernimmt ab dem 20. Lebensjahr anschliessend die obligatorische Krankenpflegeversicherung (OKP) die bisher von der IV übernommenen medizinischen Massnahmen. Die sogenannte Geburtsgebrechenmedikamentenliste (GGML) enthält die von der IV übernommenen Arzneimittel, die nach dem 20. Lebensjahr durch die OKP zu vergüten sind (Art. 52 Abs. 2 Bundesgesetz über die Krankenversicherung [KVG, SR 832.10]). Voraussetzung für die Aufnahme in die GGML ist die Kostenübernahme durch die IV. Diese liegt für Spinraza® seit April 2018 vor (vgl. das IV-Rundschreiben des Bundesamtes für Sozialversicherungen Nr. 373 vom 11. April 2018). Der Hersteller von Spinraza® hat daraufhin im Juni 2018 beim Bundesamt für Gesundheit (BAG) ein Gesuch zur Aufnahme des Medikaments in die GGML gestellt, das nun vom BAG zu prüfen ist.

Das Verfahren zur Aufnahme von Medikamenten auf die GGML stellt sicher, dass nur solche Medikamente von der OKP vergütet werden, deren Wirksamkeit erwiesen und deren wirtschaftliche Tragbarkeit sichergestellt ist. Die Anwendung von Spinraza® wurde bei der Patientengruppe der über 20-Jährigen bisher kaum untersucht. Laut Fachinformation wurde dessen Wirksamkeit in sechs klinischen Studien bei symptomatischen und präsymptomatischen (genetisch diagnostizierte SMA noch ohne Symptome) Patientinnen und Patienten gezeigt. Diese waren zum Zeitpunkt der ersten Dosis 3 Tage bis 15 Jahre alt. Nur einige wenige Patientinnen und Patienten waren bei Studienabschluss mindestens volljährig. Die Wirksamkeit wurde somit praktisch ausschliesslich bei Kin-

dern und Jugendlichen systematisch untersucht. Es zeigte sich unter anderem, dass der Beginn der Behandlung zu einem frühen Zeitpunkt nach Symptombeginn schneller und stärker günstige Wirkungen zeigte als bei späterem Behandlungsbeginn. Ausserdem scheint die Wirkung bei schwereren Formen der SMA mit früherem Beginn grösser zu sein. Insgesamt sind aber die Daten zu leichteren Formen mit Beginn im späteren Alter und weniger schweren Auswirkungen sehr begrenzt. Ebenfalls können Aussagen zur Sicherheit von Spinraza® nur für das bisher untersuchte Patientenkollektiv und die bisher erfolgte Behandlungsdauer gemacht werden. Unter anderem traten unerwünschte Wirkungen in Zusammenhang mit der Applikationsart auf. Spinraza® muss direkt in die Gehirn-Rückenmark-Flüssigkeit im Bereich des Rückenmarkkanals gespritzt werden, was gelegentlich zu Komplikationen wie z. B. postpunktionellen Kopfschmerzen führen kann. Somit liegen zur Wirksamkeit und zur Sicherheit bei der Anwendung von Spinraza® bei Erwachsenen mit SMA bisher nur wenig oder gar keine Daten und insbesondere auch keine Langzeitdaten vor. Es ist unabdingbar, solche Aspekte vor dem Hintergrund des sehr hohen Preises von Spinraza und einer möglicherweise lebenslangen Therapiedauer vor Aufnahme in die GGML zu prüfen. Das Vorgehen des BAG – die einlässliche Prüfung der Wirksamkeit, der Zweckmässigkeit und der Wirtschaftlichkeit der Anwendung des Arzneimittels an Erwachsenen im Rahmen des Verfahrens um Aufnahme in die GGML – hat der Regierungsrat nicht zu beurteilen. Er stellt aber fest, dass das Vorgehen den gesetzlichen Vorgaben entspricht. Heisst das BAG das Gesuch der Herstellerfirma am Ende gut, dürfte die grosse Mehrheit der über 20-jährigen SMA-Betroffenen schweizweit mit Spinraza® zu-lasten der OKP behandelt werden können.

Anzumerken bleibt, dass bereits heute im Einzelfall eine Kostenübernahme auch für über 20-jährige Patientinnen und Patienten nach den Voraussetzungen von Art. 71a und 71b KVV möglich ist, wie in der Anfrage richtigerweise bemerkt wird (sogenannter Off-Label-Use).

Zu Frage 2:

Genaue Zahlen zur Anzahl SMA-erkrankter Personen in der Schweiz oder im Kanton Zürich liegen dem Regierungsrat nicht vor. Seit 2008 gibt es bei der Schweizerischen Muskelgesellschaft ein nationales Patientenregister für Muskeldystrophie Duchenne und Becker sowie Spinale Muskelatrophien. Dort sind zurzeit über alle Altersklassen gerechnet insgesamt 28 Patientinnen und Patienten mit SMA aus dem Kanton Zürich registriert, 14 davon sind über 20 Jahre alt (8 Personen mit SMA Typ II, 5 mit Typ III, 1 mit Typ IV). Es gilt allerdings zu beachten, dass sich nicht alle SMA-Betroffenen beim Patientenregister anmelden.

Zu Fragen 3 und 4:

Der Kanton Zürich verfügt nicht über ein besonderes Finanzierungsmittel zur Deckung der Kosten aus der Behandlung seltener Krankheiten, die nicht von der obligatorischen Krankenpflegeversicherung gedeckt sind. Insbesondere bildet § 46 des Gesundheitsgesetzes (LS 810.1) keine Rechtsgrundlage für eine entsprechende Kostendeckung: Diese Bestimmung erlaubt zwar die finanzielle Unterstützung von Massnahmen der Gesundheitsförderung und Prävention, nicht aber der Behandlung von Krankheiten. Auch auf der Grundlage des Spitalplanungs- und -finanzierungsgesetzes (SPFG, LS 813.20) können solche Kosten nicht übernommen werden: Zwar kann der Kanton an Listenspitäler Subventionen ausrichten für Nichtpflichtleistungen, die im Rahmen neuer Untersuchungs- und Behandlungsmethoden erbracht werden (§ 11 Abs. 1 lit. d SPFG), doch handelt es sich bei der Verwendung des Medikaments Spinraza® nicht um eine neue Behandlungsmethode im Sinne dieser Bestimmung. Zudem sind die Nutzniessenden der Bestimmung nicht die Patientinnen und Patienten, sondern die Listenspitäler.

Die geltende Regelung der Kostenübernahme, wie sie in der Beantwortung der Frage 1 erläutert wurde, gewährleistet, dass alle KVG-Versicherten hinsichtlich der Übernahme von Medikamentenkosten in der ganzen Schweiz gleich behandelt werden. Wollte der Kanton Zürich Spinraza® aus eigenen Mitteln finanzieren, würden Betroffene aus anderen Kantonen benachteiligt, und es würde ein Präzedenzfall zur Kostentragung für neue Arzneimittel geschaffen, über deren Kostenübernahme zulasten der OKP das BAG (noch) nicht entschieden hat. Dies könnte in finanzieller Hinsicht unabsehbare Folgen haben, weil sich Betroffene von anderen Krankheiten, gegen die noch kein durch die OKP zu übernehmendes Arzneimittel zur Verfügung steht, auf den Präzedenzfall berufen könnten.

Aus diesen Gründen lehnt der Regierungsrat eine kantonale Finanzierungslösung ab. Eine nationale Lösung liegt ausserhalb des Einflussbereichs des Regierungsrates.

II. Mitteilung an die Mitglieder des Kantonsrates und des Regierungsrates sowie an die Gesundheitsdirektion.

Vor dem Regierungsrat
Die Staatsschreiberin:
Kathrin Arioli