



27. Februar 2020

---

## IV-Rundschreiben Nr. 397

---

### Kostenübernahme von Spinraza® (Nusinersen):

Die IV übernimmt die Kosten für das Präparat Spinraza® (Nusinersen) bei präsymptomatischen spinale Muskelatrophie(SMA)-Patienten sowie SMA-Patienten mit Typ I, II oder III zum Preis (Publikumspreis) von CHF 90'063.70 pro Flasche (Durchstechflasche mit 12mg/5ml Abgabekategorie A). Eine entsprechende Vereinbarung mit der ZulassungsinhaberIn wurde bis zum 31. Dezember 2022 getroffen. Der Publikumspreis wurde an den aktuellen Auslandspreisvergleich angepasst und gilt für alle Behandlungen ab dem 21. Februar 2020.

Die Bedingungen zur Kostenübernahme (Limitatio) von Spinraza® wurden ebenfalls aktualisiert.

Folgende Bedingungen (Limitatio) müssen für eine Behandlung berücksichtigt werden und sind den behandelnden Fachärzten mitzuteilen.

#### Einschlusskriterien

Spinraza® darf nur in Spital-basierten, spezialisierten neuromuskulären Zentren des Netzwerks Myosuisse (siehe z.B. [www.fsrm.ch/projekte/netzwerk-myosuisse](http://www.fsrm.ch/projekte/netzwerk-myosuisse)) von einem Facharzt der Neurologie/Neuropädiatrie verschrieben und 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 intrathekalen Anwendungen durch Lumbalpunktion haben.

Der behandelnde Arzt ist verpflichtet, die erforderlichen Daten laufend im Schweizer Register für neuromuskuläre Erkrankungen SwissReg-NMD (<https://www.swiss-reg-nmd.ch/>) zu erfassen.

Nach Kostengutsprache durch die IV-Stelle nach vorgängiger Konsultation des regionalärztlichen Dienstes (RAD).

Ein spezifischer Antrag für Verlängerung der Behandlung nach 12 Monaten ist vom behandelnden Arzt zu erstellen und der IV-Stelle erneut vorzulegen.

Zur Behandlung der 5q-assoziierten spinalen Muskelatrophie (SMA) bei pädiatrischen Patienten mit Diagnosestellung vor dem 20. Geburtstag (für Patienten über 20 Jahren siehe GGML).

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:

- SMN2-Kopien  $\geq 2$ .

Bei SMA-Typ I (infantile Form):

- 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):

- SMN2-Kopien  $\geq 2$ .
- Beginn der Symptome  $> 6$  Monaten.

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.

#### **Ausschlusskriterien**

- Ausgeschlossen sind SMA-Typ 0 und IV sowie alle spinalen und neuralen Muskelatrophien, die nicht auf eine Gendeletion oder -mutation auf Chromosom 5q zurückzuführen sind;
- Ausgeschlossen sind Patienten, bei welchen eine intrathekale Anwendung durch Lumbalpunktion wegen Gesundheitsgefährdung oder technischer Schwierigkeiten (z.B. Status nach Wirbelsäulenversteifung) nicht möglich ist;
- Spinraza® darf nicht vor, nach oder zusammen mit einer für SMA spezifischen Gentherapie angewendet werden. Spinraza® darf nicht zusammen mit einer anderen auf die Expression der SMN-Proteine einwirkende medikamentöse Behandlung der spinalen Muskelatrophie (SMA) verabreicht werden.

#### **Abbruchkriterien**

- Gesamtverschlechterung der motorischen Funktion, bestätigt durch 2 aufeinanderfolgende Messungen, ohne alternative Begründung für die Verschlechterungen:
  - Reduktion von mehr als 2 auf der Skala für horizontales Treten oder 1 auf anderen HINE-Scores ohne freiwilligen Griff;
  - Rückgang von mehr als 4 Punkten auf der der Children's Hospital of Philadelphia Infant Test of Neuromuscular Disorders scale (CHOP-Intend);
  - Rückgang von mehr als 3 Punkten auf der Revised Hammersmith-Skala (HFMSE).
- Dauerbeatmung (16 oder mehr Stunden pro Tag an 21 aufeinander folgenden Tagen, wenn keine akute reversible Infektion vorliegt) oder Notwendigkeit einer permanenten Tracheostomie bei gleichzeitiger Verschlechterung der motorischen Funktionen;
- Nichteinhaltung des Behandlungsplans.