

# Teure Hoffnungsträger

**Muskelkrankheiten.** Neue Therapien erhöhen die Lebenserwartung deutlich. Aber die Kosten sind extrem hoch

VON ERNST MAURITZ

Emily, 11, ist von der erblichen Muskelkrankheit SMA-Typ 2 (Spinale Muskelatrophie) betroffen: Bei ihren Muskeln kommt der Nervenreiz nicht an, die Muskelfasern werden schwächer. Emily fehlt ein Gen und damit ein Eiweiß, das die für die Muskulatur zuständigen Nervenzellen am Leben erhält. Emily ist eines von rund 65 Kindern und vier Erwachsenen, die bisher in Österreich mit dem neuen Medikament Spinraza (Nusinersen) von Biogen behandelt wurden. Es unterstützt den Körper, das fehlende Eiweiß zu bilden. Zehn Injektionen in den Raum um das Rückenmark hat sie bereits erhalten. Seither hat sich ihr Zustand nicht verschlechtert.

Für Kinder bis zum zweiten Lebensjahr ist in den USA auch eine Gentherapie (Zolgensma der Novartis-Tochter AveXis) zugelassen: Bei Patienten mit der schwersten SMA-Form (Typ 1) wird mithilfe eines nicht krankmachenden Virus ein gesundes Gen für die Eiweißproduktion in die speziellen Nervenzellen eingeschleust. Eine einmalige Injektion soll reichen. In Österreich wurde noch kein Kind damit behandelt.

20.000 Menschen in Österreich sind von Muskelerkrankungen betroffen, mehr als die Hälfte sind Kinder und Jugendliche. „Zum ersten

Mal können wir Therapien verordnen, die an die Wurzel des Problems gehen“, sagt Günther Bernert, Vorstand der Abteilung für Kinder- und Jugendheilkunde am Kaiser-Franz-Josef-Spital (SMZ Süd) in Wien.

Nusinersen hat zu einer Verlängerung der Lebenserwartung und mildereren Krankheitsverläufen geführt. Unter Zolgensma entwickeln sich viele Kinder bei früher Diagnose beinahe normal. Je früher die Krankheit diagnostiziert und die Therapien eingesetzt werden, umso besser der Effekt. Ein großer Schritt zur Frühdiagnose wäre die Aufnahme von SMA in das bestehende Neugeborenen-Screening für erblich bedingte Erkrankungen. Bernert: „Ich bin optimistisch, dass noch heuer ein Pilotversuch starten kann.“

## Patienten werden älter

Die positiven Effekte sind so groß, dass Erwachsenenneurologen zunehmend solche Patienten behandeln, weil sie jetzt – im Gegensatz zu früheren Erkrankten – dieses Alter erreichen. „Die neuen Therapien haben aber auch einen Nachteil“, sagt Bernert: „Sie sind kostspielig.“ Beispiel Spinraza: Zwar konnten viele Patienten in einem Einführungsprogramm der Firma die Therapie kostenlos erhalten. Aber der Listenpreis für eine Injektion beträgt 80.000 Euro. Im ersten Jahr sind sechs In-

jektionen notwendig, in jedem Folgejahr drei. Besonders bei Jugendlichen und Erwachsenen wurden von Spitalsträgern auch schon die Kostenübernahme der Therapie abgelehnt. Die Mediziner verweisen auf neue positive Studiendaten auch für Ältere: „Wir hoffen, dass der Zugang auch für diese Patienten erleichtert wird.“ Zolgensma hingegen muss zwar nur einmal verabreicht werden – kostet aber knapp zwei Millionen Euro pro Patient. Und weitere Therapien sind in Entwicklung.

„Einerseits tragen wir die Kosten und das Risiko der Forschung“, sagt Astrid Müller, Geschäftsführerin von Biogen Österreich: „Und man muss den volkswirtschaftlichen Effekt sehen: Eltern müssen etwa nicht mehr ihre Arbeit aufgeben, um für das Kind rund um die Uhr da zu sein.“ Ähnlich Hardo Fischer von AveXis: „Die Herstellung einer Charge dauert acht Monate. Für jedes Kind wird eine individuelle Menge der Genabschnitte produziert.“

In Deutschland haben Krankenkassen drei Zolgensma-Therapien trotz fehlender Zulassung bezahlt. Bernert: „Wir hoffen, dass die Zulassung bald da ist. Dann können wir mit offenen Karten und mit für allen gleichen Bedingungen arbeiten.“ [www.muskelforschung.at](http://www.muskelforschung.at)  
Spenden für die Muskelforschung: IBAN AT71600000093040400



Emily erhält eine der neuen Therapien gegen die genetische Muskelkrankheit SMA. Adele Neuhauser unterstützt die Österreichische Muskelforschung

ÖSTERREICHISCHE MUSKELFORSCHUNG

## Lotterie mit Zwei-Millionen-Euro-Therapie?

**Umstritten.** Diskussion um Vergabeverfahren für 100 Gratis-Behandlungen

Für Länder, in denen die Gentherapie Zolgensma noch nicht zugelassen ist, hat die Novartis-Tochterfirma AveXis ein Programm gestartet: 100 Kinder mit der Muskelkrankheit SMA-Typ 1 sollen heuer die teure Gensatztherapie gratis erhalten. Die Kinder dürfen nicht älter als 24 Monate sein (das entspricht der Zulassung in den USA).

Anträge müssen zentral an eine Partnerfirma von AveXis in den USA gestellt werden. Sie prüft die medizinische Notwendigkeit. Wer dann die Therapie erhält, entscheidet eine „blinded selection“, wie es auf der Homepage von AveXis heißt. Jeden Monat werden acht Patienten gezogen. „Das lässt Zolgensma wie einen Gewinnspielpreis aussehen“, kritisieren Patientenvereinigungen. „Das

hat eine Art Lotteriencharakter und weckt bei vielen Familien vielleicht doch wieder falsche Hoffnungen“, sagte Janbernd Kirschner, Direktor der Abteilung für Neuropädiatrie in Bonn im deutschen *Ärzteblatt*.

Hardo Fischer, Medizinischer Direktor von AveXis für Europa/Region Süd, sagt zum KURIER: „Auch ich bin nicht glücklich, aber wir haben – gemeinsam mit einem unabhängigen Ethikbeirat – keine bessere Lösung gefunden. Auch mir wären klare medizinische Entscheidungskriterien lieber.“ Aber diese gebe es nicht. Betroffene Eltern kritisieren, dass nicht die Kinder mit den höchsten Bedürfnissen ausgewählt werden. Fischer: „Eine objektive Einschätzung der Symptomatik nach klaren Richtlinien – ähnlich

wie bei den Transplantationspatienten – ist extrem schwierig. Es ist praktisch nicht möglich, gültige Aussagen darüber zu treffen, wer die höchste Bedürftigkeit hat.“ Denn der äußere Eindruck hänge z. B. sehr vom allgemeinen Verhalten des Babys ab und sei nicht aussagekräftig genug. Demgegenüber sei die gewählte Vorgangsweise wesentlich fairer. Bisher habe es international „200 bis 300 Anfragen“ gegeben, darunter eine eines Arztes aus Österreich: „Es wurde aber noch kein Fall aus Österreich in den USA eingereicht.“ Dass AveXis nicht mehr als 100 Therapien anbiete, hänge mit den begrenzten Produktionskapazitäten zusammen: Die Herstellung dauere mehrere Monate, derzeit gibt es nur eine Produktionsstätte.

## Recht praktisch



VON DR. MARIA IN DER MAUR-KOENNE  
Wir planen in den Semesterferien wieder einmal einen Skiurlaub in Salzburg. Auch wenn ich einen Skihelm grundsätzlich für sinnvoll halte, müssen meine Frau und ich auf jeden Fall einen Helm tragen? Müssen unsere beiden Söhne (12 und 16 Jahre) einen Skihelm tragen, wenn sie ohnehin nur mit einem Skikurs unterwegs sind? Was passiert, wenn wir ohne Skihelm auf der Piste sind? Müssen wir dann eine Strafe zahlen?  
Gunther G., Burgenland

Lieber Herr G., die **Skihempfl**icht in Österreich gilt für **Minderjährige bis zum vollendeten 13. Lebensjahr** und immer noch nicht in allen Bundesländern. Nur in **Salzburg, Oberös-**

**terreich, Niederösterreich, Steiermark, Kärnten, dem Burgenland und Wien** besteht eine **Hempfl**icht für Kinder. In **Tirol und Vorarlberg** gibt es weiterhin **keine gesetzliche Hempfl**icht für Kinder. Vorarlberg hat allerdings eine öffentliche Empfehlung für das Tragen von Skihelmen ausgesprochen.

In Salzburg muss daher Ihr **12-jähriger Sohn** im Rahmen der Wintersportausübung **verpflichtend einen Wintersporthelm** tragen, Ihren 16-jährigen Sohn trifft diese Verpflichtung nicht mehr. Der Kopfschutz ist nicht nur beim Skifahren, sondern beispielsweise **auch beim Snowboarden oder beim Rodeln auf präparierter Piste** zu tragen. Selbstverständlich gilt diese **Hempfl**icht **auch beim Skifahren in einem Skikurs**. Es

ist davon auszugehen, dass ein Skilehrer Ihren 12-jährigen Sohn gar nicht im Skikurs mitnehmen würde, wenn dieser keinen Skihelm dabei hätte.

Ihre Frau, Sie und Ihr 16-jähriger Sohn, so wie **alle über 15-Jährigen** unterliegen in **keinem Bundesland einer Skihempfl**icht. Da durch das Tragen eines Skihelms schwere Unfälle und Körperverletzungen, insbesondere schwere Kopfverletzungen, vermieden werden können, ist ein **Skih**helm **auch für Erwachsene bei der Wintersportausübung zu empfehlen**. Dazu kommt in Ihrem Fall auch die Vorbildwirkung für Ihre Söhne.

**Kontrollen der Hempfl**icht sind im Gesetz **nicht vorgesehen**. Die Polizei oder eigene Pistenaufsichtsorgane sind

berechtigt, **auf die Hempfl**icht hinzuweisen. **Verwaltungsstrafen** gibt es aber **keine**, wenn ein Kind keinen Helm trägt.

Bei **Verstoß gegen die Hempfl**icht könnte es im **Falle eines Unfalls zu Problemen mit der Versicherung und/oder dem Unfallgegner** kommen. Die Versicherung könnte sich weigern, die Unfallkosten zu übernehmen. Falls eine **Aufsichtspflichtverletzung der Eltern** vorliegt, könnte ein **Mitverschulden der Eltern** des verletzten Kindes gegeben sein und Schmerzensgeldansprüche, sowie sonstige Ansprüche entsprechend gekürzt werden.

In einer ganz aktuellen Entscheidung aus **Deutschland (München)** hat das Gericht bei einem **Skiunfall in Tirol** auch

bei einem **erwachsenen Unfallopfer ohne Helm ein Mitverschulden** gesehen. Die verletzte Skifahrerin trug keinen Skihelm, die erlittenen Kopfverletzungen hätten aber durch das Tragen eines Skihelms vermieden werden können. Das deutsche Gericht sah daher ein **Mitverschulden** bei der verletzten Skifahrerin und sprach ihr daher **nur die Hälfte der Behandlungskosten** zu.

Auch wenn dies noch eine **Einzelfallentscheidung aus Deutschland** ist, ist es **auf jeden Fall ratsam, Ihre ganze Familie mit Skihelmen auszustatten**. Diese können auch bei allen Skiverleihs oder direkt bei den meisten Skischulen ausbezahlt werden.

rechtpraktisch@kurier.at

K