

Rudolf Anschober
Bundesminister

Herrn
Mag. Wolfgang Sobotka
Präsident des Nationalrates
Parlament
1017 Wien

Geschäftszahl: 2020-0.468.013

Wien, 18.9.2020

Sehr geehrter Herr Präsident!

Ich beantworte die an mich gerichtete schriftliche parlamentarische **Anfrage Nr. 2901/J des Abgeordneten Schnedlitz und weiterer Abgeordneter betreffend verwehrtes Medikament für Erwachsene bei Spinaler Muskelatrophie** wie folgt:

Frage 1: *Wie viele Fälle von Spinaler Muskelatrophie in Österreich sind Ihnen bekannt? (Bitte um genaue Auflistung nach Bundesländer und Alter)*

Im Erhebungsjahr 2019 wurden insgesamt 121 pseudonymisierte PatientInnen mit den Hauptdiagnosen „G12.0 Infantile spinale Muskelatrophie, Typ I [Typ Werdnig-Hoffmann]“, „G12.1 Sonstige vererbte spinale Muskelatrophie“ und „G12.9 Spinale Muskelatrophie, nicht näher bezeichnet“ in den österreichischen Krankenanstalten dokumentiert. Die detaillierte Aufstellung nach Altersgruppen und Wohnsitz ist der beiliegenden Tabelle (siehe „BEILAGE_PA 2901/J“ - Spalte C) zu entnehmen.

Dabei ist jedoch festzuhalten, dass es sich bei den für das Erhebungsjahr 2019 zur Verfügung stehenden Zahlen nur um die vorläufigen, teilweise noch ungeprüften Daten der Diagnosen- und Leistungsdokumentation aus dem Krankenanstaltenbereich handelt. Bei der Berechnung der Anzahl der Patientinnen/Patienten wurden ausschließlich Datensätze mit vorliegendem Pseudonym herangezogen. Nicht berücksichtigt sind

anonyme, nicht-pseudonymisierte Datensätze von stationären KH-Aufenthalten bzw. ambulanten KH-Besuchen. (Der Pseudonymisierungsgrad des vorliegenden Datenbestands für das Erhebungsjahr 2019 liegt derzeit bei mehr als 85%.)

Frage 2: *Wie viele unter 18-jährige wurden in Österreich bereits mit Spinraza behandelt? (Bitte um genaue Auflistung nach Bundesländer und Alter)*

Im Erhebungsjahr 2019 wurde die Med. Leistung „XS030 Therapie der spinalen Muskelatrophie mit Nusinersen [ATC: M09AX07] (LE=je Applikation)“ bei 53 Patientinnen/Patienten in den österreichischen Krankenanstalten codiert.

Angemerkt wird, dass diese Leistung erstmalig für das Erhebungsjahr 2019 im Leistungskatalog berücksichtigt wurde. Daher gibt es derzeit noch keine Erfahrung zur Vollständigkeit der Dokumentation dieser Leistung. Die detaillierte Aufstellung nach Altersgruppen und Wohnsitz ist der beiliegenden Tabelle (siehe „BEILAGE_PA 2901/J“ - Spalte D) zu entnehmen.

Im niedergelassenen Bereich sind bisher keine Fälle einer Behandlung mit dem Medikament Spinraza bekannt und ist auch in der maschinellen Heilmittelabrechnung bis zum 31. Juli 2020 keine Verordnung erfasst.

Betreffend das Medikament Spinraza ist auf Folgendes hinzuweisen:

Spinraza (Wirkstoff Nusinersen) wird zur Behandlung der 5q-assoziierten spinalen Muskelatrophie angewendet. Spinraza ist zur intrathekalen Anwendung mittels Lumbalpunktion in den Rückenmarkskanal bestimmt.

Die spinale Muskelatrophie (SMA) ist eine schwere, häufig tödlich verlaufende, seltene Erkrankung, die in den meisten Fällen autosomal rezessiv vererbt wird. Die Erkrankung ist gekennzeichnet durch einen fortschreitenden Abbau motorischer Nervenzellen im Rückenmark, dadurch kommt es zu einem Muskelschwund des Rumpfes einschließlich der Lungenmuskulatur und der Extremitäten. Die häufigste Ursache ist ein defektes Chromosom 5q, meistens eine Exon 7 Deletion auf dem Survival Motor Neuron (SMN) 1 Gen. In Abhängigkeit vom Alter bei Symptombeginn und dem Erreichen motorischer Fähigkeiten werden fünf Typen unterschieden:

- Typ 0: seltene Form, bei der die Betroffenen innerhalb der ersten Lebenswochen versterben.
- Typ I: Infantile SMA, tritt am häufigsten auf, Lebenserwartung: < 2 Jahre
- Typ II und III: SMA mit späterem Krankheitsbeginn, sind seltener, die Lebenserwartung ist reduziert auf 2-40 Jahre (bei Typ II) oder normal (bei Typ III).
- Typ IV: mildeste Verlaufsform, tritt bei < 5% aller Patient*Innen auf, die Betroffenen haben eine normale Lebenserwartung und sind gehfähig.

Zur Studienlage wird auf Folgendes ergänzend hingewiesen:

Vergleichende Daten liegen bisher ausschließlich für symptomatische infantile SMA-Patienten vor (Typ I) sowie für symptomatische SMA-Patienten mit späterem Krankheitsbeginn bis zu einem Maximalalter von neun Jahren vor.

Spinraza ist nicht im Warenverzeichnis des Apothekerverlages gelistet, es können daher keine Angaben zu einem eventuellen Kassenverkaufspreis gemacht werden. Das Präparat wird – soweit bekannt – vom Hersteller direkt an Anstaltsapotheken geliefert.

Spinraza ist aufgrund seiner Verabreichungsart (intrathekale Anwendung) ein Krankenhausprodukt (intramurales Produkt). Eine Verabreichung im niedergelassenen Bereich ist nicht denkbar.

Gemäß Art. 12 Abs. 1 Z 1 Bundes-Verfassungsgesetz (B-VG) ist im Bereich der Kranken- und Kuranstalten lediglich die Grundsatzgesetzgebung Bundessache. Die Erlassung von Ausführungsgesetzen und die Vollziehung hingegen ausschließlich Sache des jeweiligen Bundeslandes. Aufgrund dieser verfassungsrechtlich normierten Kompetenzverteilung ist daher für Entscheidungen über Behandlungen im Spital primär das jeweilige Bundesland zuständig.

Aus krankenversicherungsrechtlicher Sicht ist anzumerken, dass nach der Vereinbarung gemäß Art 15a B-VG über die Organisation und Finanzierung des Gesundheitswesens, BGBl. I Nr. 98/2017, mit den Zahlungen der Träger der Sozialversicherung an die Landesgesundheitsfonds (Pauschalzahlung gemäß § 447 f ASVG) aus deren Sicht alle Leistungen der Krankenanstalten, insbesondere im stationären, halbstationären, tagesklinischen und spitalsambulantem Bereich einschließlich der durch den medizinischen Fortschritt resultierenden Leistungen für Versicherte und deren anspruchsberechtigte Angehörige zur Gänze abgegolten sind (Art. 43 der zitierten Vereinbarung).

Der Dachverband der Sozialversicherungsträger ist ausschließlich für die Entscheidung in Bezug auf die Erstattung von extramuralen Arzneispezialitäten (niedergelassener Bereich) zuständig, d. h. Arzneispezialitäten, die nicht in Krankenanstalten (intramural) verwendet werden.

Entsprechend der „Liste der nicht erstattungsfähigen Arzneimittelkategorien gemäß § 351c Abs. 2 ASVG“ sind Arzneimittel zur Behandlung in Krankenanstalten (Arzneimittelkategorie 1) von der Erstattung ausgeschlossen, weil sie überwiegend zur Behandlung in Krankenanstalten und/oder unter ständiger Beobachtung verwendbar sind und somit im Allgemeinen nicht zur Krankenbehandlung im niedergelassenem Bereich im Sinne des § 133 Abs. 2 ASVG dienen. Dies sind Arzneispezialitäten, die im Allgemeinen aufgrund des Anwendungsgebietes, der Behandlungsqualität, der notwendigen Überwachung und/oder der Sicherheitsvorkehrungen für Fertigstellung, Anwendung oder Entsorgung nicht im niedergelassenen Bereich verwendbar sind oder deren Anwendung im Allgemeinen nur im Rahmen eines Aufenthaltes in einer Krankenanstalt, einer Leistungserbringung in einer Krankenanstalt oder im Zusammenhang mit einer Leistungserbringung einer Krankenanstalt medizinisch zweckmäßig und vertretbar sind.

Fragen 3 bis 11:

- *Welche Behandlungen werden den an Spinaler Muskelatrophie erkrankten Menschen bezahlt?*
- *Bei welchen Behandlungen werden die an Spinaler Muskelatrophie erkrankten Menschen zumindest teilweise finanziell unterstützt?*
- *Wie viele Ansuchen auf finanzielle Unterstützung gibt es? (Bitte um genaue Auflistung nach Bundesländer und Alter)*
- *Wie viele der in Frage 4 genannten Ansuchen wurden bewilligt und wie viele davon abgelehnt? (Bitte um genaue Auflistung nach Bundesländer und Alter)*
- *Wie hoch sind die in Frage 3 genannten Unterstützungen?*
- *Welche Hilfsmittel werden bezahlt?*
- *Für welche Hilfsmittel gibt es Zuschüsse in welcher Höhe?*
- *Wie viele Ansuchen für welche Hilfsmittel gibt es? (Bitte um genaue Auflistung nach Bundesländer)*
- *Wie viele der in Frage 9 genannten Hilfsmittel wurden bewilligt und wie viele davon abgelehnt? (Bitte um genaue Auflistung nach Bundesländer)*

Der Dachverband der Sozialversicherungsträger hält ausdrücklich fest, dass alle rechtlich vorgesehenen Leistungen, die in die Zuständigkeit der Sozialversicherungsträger fallen, gewährt werden.

Frage 12: *Aus welchen Gründen wird Erwachsenen eine Behandlung mit Spinraza verwehrt?*

Anhand der vorliegenden Daten ist ersichtlich, dass auch Erwachsene die Med. Leistung „XS030 Therapie der spinalen Muskelatrophie mit Nusinersen [ATC: M09AX07] (LE=je Applikation)“ erhalten haben. Die individuelle Entscheidung liegt bei den behandelnden Ärztinnen und Ärzten in der Krankenanstalt.

Frage 13: *Planen Sie in naher Zukunft eine gesamte oder teilweise Kostenübernahme des Medikaments Spinraza?*

Die grundsätzliche Zuständigkeit für die Behandlung mit Nusinersen liegt bei den Krankenanstaltenträgern und den behandelnden Ärztinnen und Ärzten. Für eine bessere Abstimmung im Bereich der Medikamentenversorgung in Österreich wurde im Rahmen der Zielsteuerung-Gesundheit vereinbart, diese sektorenübergreifend gemeinsam zu optimieren. Ich habe vor kurzem ein Gespräch mit Betroffenen geführt. Ihre Anliegen sind für mich gut nachvollziehbar und mir ist diese Optimierung daher ein großes Anliegen.

Frage 14: *Welche weiteren Krankheiten gibt es, wo es Medikamente geben würde, die Behandlung jedoch nicht übernommen wird? (Bitte um Beantwortung nach den Kriterien der Fragen 1 bis 13)*

Diesbezüglich liegen dem BMSGPK keine Informationen vor.

Mit freundlichen Grüßen

Rudolf Anschöber

