



*Pressemitteilung im Rahmen des Internationalen Tages
der seltenen Krankheiten (Montag, 28. Februar 2022)*

„Kranken Kindern wird die Hoffnung auf Heilung genommen“

Die einzige innovative gentechnische Behandlungsmethode gegen ALDc wird in Europa nicht mehr verfügbar sein - Für den Selbsthilfeverein ELA International ist das vollkommen unverständlich

Skysona wurde im Jahr 2021 von der Europäischen Arzneimittelagentur zugelassen und ist die erste innovative, gentechnische Behandlungsmethode gegen zerebrale Adrenoleukodystrophie (ALDc). Sie wird jedoch in Europa nicht erhältlich sein. Das pharmazeutische Unternehmen Bluebird Bio, dass das Arzneimittel produziert, schließt seine Standorte in Europa und nimmt betroffenen Kindern die Hoffnung auf Heilung.

Zerebrale Adrenoleukodystrophie (ALDc) ist eine gefährliche, seltene genetische Erkrankung, von der hauptsächlich Kinder unter zehn Jahren betroffen sind. Sie zerstört innerhalb von Monaten das zentrale Nervensystem (Gehirn, Rückenmark). Das Ergebnis: Ein Kind, dem es bislang gut ging, verliert nach und nach all seine Fähigkeiten (Sehen, Hören, Motorik, Sprechen, Gedächtnis ...). Die einzige Hoffnung: Nach Diagnostik und vor dem Auftreten der ersten Symptome eingreifen und die Kinder umgehend behandeln. Es existiert eine Behandlungsmöglichkeit, doch es fehlt der Zugang zu ihr: Das pharmazeutische Unternehmen hat beschlossen, Europa zu verlassen.

Seit 1992 forscht der Verband ELA zu ALDc

Seit seiner Gründung im Jahr 1992 in Frankreich setzt der Verband ELA alles daran, um Behandlungsmöglichkeiten gegen diese Krankheit zu finden. Wir, die Eltern erkrankter Kinder, haben das Team von Pr. Patrick Aubourg und Dr. Nathalie Cartier (PARIS – Hôpital Saint Vincent de Paul, anschließend Hôpital Bicêtre) unterstützt und die vorklinischen Studien sowie die erste klinische Studie für Gentherapie finanziert. Vier junge Patienten konnten so eine Eigen-Knochenmarktransplantation erhalten, um das betreffende Gen zu korrigieren. Dieses innovative Verfahren wurde 2009 von den wichtigsten wissenschaftlichen Zeitschriften, darunter „Science“ und „Nature“, gewürdigt. Dieser erste

Erfolg brachte Hoffnung für weitere Krankheiten und hat den Weg für eine zweite, umfangreichere Studie geebnet, die von dem amerikanischen Biotechnologie-Unternehmen Bluebird Bio durchgeführt wurde. Die betroffenen Familien haben große Hoffnung geschöpft.

2021 wird die Entschlossenheit von ELA endlich belohnt

Die seit 30 Jahren ununterbrochenen Bemühungen von ELA, in deren Rahmen 47 Millionen Euro investiert wurden, haben die internationale Forschung zu Leukodystrophien vorangebracht. Im Juli 2021 konnten wir stolz und dankbar die Genehmigung der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA) für die Markteinführung der ersten innovativen ALDc-Behandlungsmethode vermelden: Skysona, entwickelt von Bluebird Bio.

2022 erfolgt ein massiver Rückschlag: Das pharmazeutische Unternehmen verlässt den europäischen Markt.

Die Marktzulassung ist der entscheidende Schritt für die Verfügbarkeit einer Behandlung für die Patienten. Skysona wird jedoch weiterhin nicht in Europa vertrieben. Und es sieht so aus, als könnte dieser Zustand noch lange anhalten, da das entsprechende Unternehmen all seine Niederlassungen geschlossen hat. **Wieso?** Wir haben bis heute keine Erklärung erhalten, weder von dem pharmazeutischen Unternehmen, noch von der EMA. **Geht es dabei um den Preis?** Solche Behandlungen sind teuer, weil ihre Entwicklung lange dauert (15 Jahre nach der Behandlung des ersten Kindes) und Investitionen in Biotechnologie riskant sind. Es handelt sich jedoch hierbei nicht um ein Medikament, das ein Leben lang eingenommen werden muss – eine einzige Dosis ist ausreichend!

Wir ersuchen die Gesundheitsbehörden, Kostenträger und das pharmazeutische Unternehmen, die Verhandlungen unverzüglich wieder aufzunehmen, um diese Situation zu überwinden und die erkrankten Kinder behandeln zu können.

Kontakte : Marion Leleu – (+33)7 85 99 77 86 – marion.leleu@ela-asso.com

Unterzeichner :

Guy ALBA
Gründer Von ELA – Präsident von ELA International

Crystelle COTTART
Präsident von ELA Frankreich

Gaël De MIOMANDRE
Präsident von ELA Belgien

Jean-Paul FRIEDRICH
Präsident von ELA Luxemburg

Myriam LIENHARD
Präsident von ELA Schweiz

Dr Tobias MENTZEL
Präsident von ELA Deutschland

Viviana ROSATI
Präsident von ELA Italien

Carmen SEVER
Präsident von ELA Spanien