

# Eine Spritze. Zwei Millionen Dollar.

Das teuerste Medikament der Welt heißt Zolgensma und kommt bald auch nach Deutschland. Hersteller **Novartis** verspricht Patienten den Durchbruch bei der Behandlung einer seltenen Muskelkrankheit – und macht den Aktionären Hoffnung auf einen Milliardenumsatz. Die Krankenkassen aber bekommen ein Problem.

TEXT JÜRGEN SALZ

**E**s gab Zeiten, da konnte der kleine Michael aus Ludwigsburg nur mit Mühe Luft holen und nicht selbstständig sitzen. Der einjährige Junge leidet an einem seltenen genetischen Defekt, der spinalen Muskelatrophie (SMA). Nervenzellen, die Befehle des Gehirns an die Muskeln weitergeben, sterben frühzeitig ab. Bis vor Kurzem erlebten viele Kinder ihren zweiten Geburtstag nicht. In Deutschland kommen jährlich etwa 50 Neugeborene mit dieser Krankheit auf die Welt.

Michael geht es heute deutlich besser. Er kann leichter atmen, sich mehr bewegen und den Kopf stabil halten. Geholfen hat ihm eine einzige Spritze, die er eigentlich gar nicht hätte bekommen dürfen. Denn das Medikament Zolgensma des Schweizer Herstellers Novartis ist bislang nur in den USA zugelassen, erst Anfang kommenden Jahres soll es voraussichtlich auch in Europa auf den Markt kommen. Über soziale Medien, Anwälte und engagierte Prominente wie Ex-Fußballer Kevin Kuranyi machten Michaels Eltern so lange Druck, bis die Behandlung mit dem Genpräparat schließlich in Heidelberg stattfinden konnte. Enttäuscht wurden die Unterstützer nicht. „Zolgensma hat bei Michael und anderen Kindern, die behandelt wurden, eine bestechende Wirkung entfaltet“, sagt Erwin Hettich, ein Onkel des Jungen, der im Namen der Familie spricht.

Das Wunder hat allerdings seinen Preis – und der ist mit 2,1 Millionen Dollar für die einmalige Anwendung höher als bei allen

anderen Medikamenten. Mit Zolgensma spitzt sich deshalb eine Debatte weiter zu, in der Pharmakonzerne, Krankenkassen und Gesundheitspolitiker um eine Lösung ringen: Neue Gentherapien versprechen auch bei seltenen Krankheiten noch bis vor Kurzem für unmöglich gehaltene Behandlungserfolge. Sie sind allerdings so teuer, dass ihre breite Anwendung das bisherige System der Finanzierung überfordern und letztlich sprengen könnte. Konzerne wie Novartis geraten deshalb zunehmend unter Rechtfertigungsdruck: Sie müssen erklären, ob ihre Präparate wirklich so wertvoll und wirksam sind, wie ihr Preis suggeriert.

Das gelingt ihnen nur bedingt. Pharma-manager verweisen stets auf hohe Forschungskosten, die sie refinanzieren müssen. Das pharmanahe Tufts Center in Boston kalkuliert, dass es mehr als zwei Milliarden Dollar kosten kann, ein neues Medikament zu entwickeln. Kritiker verweisen jedoch darauf, dass die Hersteller in diese Berechnungen oft auch Kosten für Fehlschläge in der Forschung einfließen lassen. Zudem lägen

**„Kleinere Kassen können durch höhere Preise ruiniert werden“**

**CHRISTOPH KLEINSCHNITZ**  
Neurologe am Uniklinikum Essen

die Marketingausgaben für neue Medikamente oft über denen für ihre Entwicklung.

Gerade innovative Genpräparate haben Konzerne oft nicht selbst erforscht und getestet, sondern durch Übernahme kleinerer Biotechunternehmen zugekauft. Die kosten mitunter Milliarden – und erhöhen den Druck, diese Summen über die Behandlungskosten letztlich bei Patienten, Kassen und Versicherungen wieder hereinzuholen. Dass viele Präparate gemeinsam mit staatlichen Forschungseinrichtungen und Universitäten entstehen und so indirekt subventioniert werden, spielt bei der Festsetzung der Preise allerdings keine Rolle.

## Patient geheilt, Kasse pleite?

In den vergangenen Jahren ist auch in Deutschland eine ganze Reihe sehr teurer Medikamente auf den Markt gekommen (siehe Grafik Seite 51). Seit 2014 stiegen die Ausgaben der gesetzlichen Kassen für Krebsmedikamente um 50 Prozent. Besonders teuer sind dabei Gentherapien wie Zolgensma. Die seien „ein absoluter Durchbruch, ein Quantensprung“, sagt Christoph Kleinschnitz, Professor für Neurologie am Uniklinikum Essen. Er warnt jedoch auch davor, dass „gerade kleinere Kassen durch immer höhere Preise in den Ruin getrieben werden können“. Die Gemeinsame Betriebskrankenkasse Köln (GBK) wurde 2010 zu einem Sanierungsfall, nachdem sie gleich zwei teure Blutermedikamente finanzieren musste. „Wir sehen mit Sorge, wie Pharmaunternehmen systematisch die Grenzen der Zahlungsfähigkeit unserer solidarischen Krankenver-



### **Kleiner Kämpfer**

Der einjährige Michael hat als erster Patient in Deutschland Zolgensma gegen seine seltene Muskelkrankheit erhalten – obwohl das Mittel hier noch gar nicht zugelassen ist. Die Behandlung ist bisher ein Erfolg



**Teurer Schritt nach vorn**  
Pharmakonzerne kalkulieren  
Forschungskosten großzügig –  
und vor allem intransparent

sicherung austesten“, sagt Martin Litsch, Chef des AOK-Bundesverbandes.

Bei Mitteln wie Zolgensma und dem bereits seit 2017 in Deutschland erhältlichen Konkurrenzpräparat Spinraza vom US-Konzern Biogen ist die einzelne Anwendung auch deshalb so teuer, weil es nur wenige Fälle gibt. Die Forschungsausgaben müssen nach der Logik der Hersteller deshalb auf diese umgelegt werden. Eine Garantie auf Heilung gibt es nicht. „Zolgensma schlägt nicht immer bei den Patienten an“, sagt der Essener Mediziner Kleinschnitz. Zudem könnten Nebenwirkungen wie Leberschädigungen auftreten. „Und bislang gibt es keine Erkenntnisse, wie das Mittel langfristig wirkt“, sagt der Arzt. „Die bisherigen Erfahrungen beziehen sich auf nur wenige Jahre.“

Novartis verweist auf seine Heilungserfolge, die bald auch mehr deutschen Patienten zugutekommen sollen. Dazu arbeitet Andrea Hofmaier mit einem kleinen Team in der Nähe des Münchner Flughafens an der Markteinführung von Zolgensma. Dass es sich um das teuerste Medikament der Welt handelt, hält sie für eine eher kurzfristige Betrachtungsweise. „Bei der Preisgestaltung haben wir uns am hohen Nutzen der Gentherapie sowie anderen Therapien für extrem seltene Erkrankungen orientiert, die nicht nur einmal, sondern ein Leben lang als Dauertherapie verabreicht werden“, sagt sie. Die einmalige Behandlung mit Zolgensma sei – auf die gesamte Lebensdauer eines Patienten gerechnet – „vermutlich kostengünstiger als Therapien, die dauerhaft gegeben werden müssen“.

Hofmaiers Visitenkarte weist sie als Mitarbeiterin des US-Biotechunternehmens Avexis und nicht von Novartis aus. Tatsächlich wurde Zolgensma in den Avexis-Labors in Chicago entwickelt. Im Herbst 2018 kaufte Novartis das US-Unternehmen – für 8,7 Milliarden Dollar. Damit sich die Akquisition rechnet, kalkuliert der Schweizer Pharmariese mit einem jährlichen Spitzenumsatz von einer Milliarde Dollar und mehr. Ist Zolgensma auch deshalb so teuer, weil der neue Eigentümer einen hohen Kaufpreis refinanzieren muss? „Zur Akquisition kann ich nichts sagen“, sagt Hofmaier, die erst seit Juni für Avexis arbeitet.

### Milliarden verdient

Um eine Milliarde Dollar Umsatz zu erzielen, müssten beim jetzigen Preis jährlich knapp 500 Kinder behandelt werden. Das Konkurrenzprodukt Spinraza wurde bereits mehr als 8000 Patienten verabreicht – im Gegensatz zu Zolgensma muss es allerdings mehrfach gespritzt werden. Im ersten Jahr kostet die Behandlung in Europa etwa schätzungsweise 460 000 Euro, ab dem zweiten

Jahr reduziert sich der Betrag auf 230 000 Euro. Hersteller Biogen hat mit dem Mittel im vergangenen Jahr 1,7 Milliarden Dollar eingenommen.

Der zweijährige Theo krabbelt in einem Reihenhaus in einer nordrhein-westfälischen Großstadt über den Teppich und spielt mit einem Feuerwehrauto. Als er einige Wochen alt war, bemerkte seine Mutter Susanne, dass ihr Kind seine Füße nicht bewegen konnte wie andere Kinder. Nach ein paar Wochen stand die Diagnose fest: SMA. Mit sechs Monaten erhielt Theo seine erste Spinraza-Spritze. „Ohne die Behandlung würde er nur noch apathisch daliegen und könnte vermutlich nur noch die Augen bewegen“, sagt seine Mutter. Nun muss Theo nicht ständig beatmet werden und kann – zumindest für kurze Zeit – selbstständig sitzen. Zehn Spritzen hat der Junge bislang erhalten. Dass Hersteller wie Biogen mit der Behandlung viel Geld verdienen, findet die Mutter absolut in Ordnung: „Vor drei Jahren war die SMA-Diagnose für schwerkranke Kinder noch ein Todesurteil – heute gibt es Medikamente, dank derer die meisten die Chance erhalten, zu leben.“ Es wird ja auch sonst viel für Flughäfen und Infrastruktur ausgegeben, sagt die Mutter.

Der Gemeinsame Bundesausschuss hat Spinraza einen „erheblichen Zusatznutzen“ bescheinigt. Das Gremium aus Medizinern und Kassenvertretern ist Deutschlands oberste Instanz bei der Bewertung des Nutzens von Medikamenten. Für Wolfram Schmidt, den Deutschlandgeschäftsführer von Biogen, reflektiert der Preis „nicht nur

## „Die Preisbildung für Medikamente muss offengelegt werden“

CLAUDIA WILD  
Boltzmann-Institut

die Produktionskosten, sondern auch das jahrzehntelange, aufwendige Forschungsprogramm von Spinraza“. Noch wichtiger sei, dass so weitere Investitionen ermöglicht werden: „Mit den Einnahmen von heute finanzieren wir die Forschungsprogramme für die Medikamente von morgen, wie zum Beispiel gegen Alzheimer“, so Schmidt.

Wie viel Biogen für die Entwicklung von Spinraza ausgegeben hat, sagt der Manager nicht. Die US-Nichtregierungsorganisation Knowledge Ecology International hat Dokumente der US-Zulassungsbehörde FDA ausgewertet und errechnet, dass die Kosten für die Zulassungsstudien bei maximal 35 Millionen Dollar gelegen haben dürften. Hinzu kommen allerdings noch erhebliche weitere Ausgaben, etwa für Grundlagenforschung. Deren Höhe lässt sich kaum schätzen.

Einen Teil der Kosten haben allerdings auch staatliche Organisationen, Universitäten und Institute getragen. Nach Recherchen des Ludwig-Boltzmann-Instituts in Wien, das unter anderem zu Medikamentenpreisen forscht, sind weltweit 165 Millionen Dollar öffentliche Förderung in die SMA-Forschung geflossen. Davon seien 20 Millionen direkt Spinraza zurechenbar. Die Mittel stammten danach unter anderem vom amerikanischen National Institutes of Health, dem Canadian Institute of Health Research sowie vom deutschen Bundesforschungsministerium und der Deutschen Forschungsgemeinschaft.

„Gesundheitssystem vorgeführt“

Dass diese Zusammenhänge mühsam recherchiert werden müssen und wichtige Angaben zur Finanzierung fehlen, hält Claudia Wild, Direktorin des Boltzmann-Instituts, für nicht hinnehmbar. „Die Preisbildung für Medikamente muss offengelegt werden“, sagt sie. Es sei eine „unglaubliche Zumutung“, wie hier das öffentliche Gesundheitssystem „vorgeführt“ werde.

Um solcher Kritik die Spitze zu nehmen, schlagen die Pharmakonzerne neue Finanzierungsmodelle vor. Zunehmend bieten sie den Kassen an, zumindest einen Teil der hohen Kosten einer Behandlung zurückzahlen, wenn diese nicht wie erwünscht anschlägt. Ein solches Modell strebt Novartis auch bei Zolgensma an. „Bis zur Markteinführung in Deutschland wollen wir idealerweise mit vielen Krankenkassen Vereinbarungen abschließen. Wird das Therapieziel verfehlt, ist der Plan, einen Teil der Therapiekosten zurückzahlen“, sagt Managerin Hofmaier. Die entsprechenden Gespräche sollen derzeit laufen.

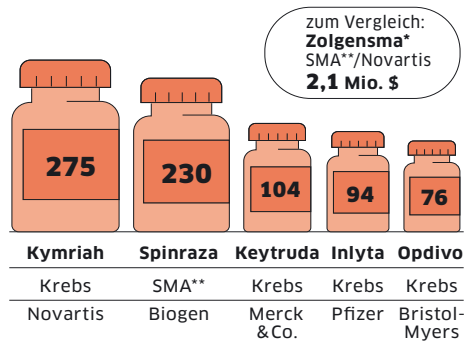
Auch Biogen ist nach eigenen Angaben „offen für innovative Vertragskonzepte“ und

steht in Verhandlungen „mit den Kostenträgern in Deutschland“. Dabei stehen Biogen und Novartis schon unter Druck. Denn der Schweizer Konkurrent Roche arbeitet an einer Tablette zur Behandlung von SMA. Noch in diesem Jahr will er deren Zulassung in den USA beantragen. „Der Wettbewerb wird zunehmen, da in den nächsten Jahren voraussichtlich weitere Therapien gegen SMA auf den Markt kommen werden“, sagt Biogen-Manager Schmidt. Damit dürften nach der Logik des Marktes die Preise fallen. Schmidt ist überzeugt, dass „Spinraza auch weiterhin eine führende Rolle spielen wird“.

Eltern von SMA-kranken Kindern sind die künftigen Marktanteile bis auf Weiteres egal. Sie warten ungeduldig auf die Markteinführung von Zolgensma – und damit auf die mögliche Rettung ihrer Kinder. Vielen dauert es zu lange, bis die europäische Zulassungsbehörde das Mittel endlich freigibt. Bei dieser sind, wie zu hören ist, noch einige

HEILSAM, ABER TEUER

Jahreskosten von ausgewählten Medikamenten in Deutschland (in 1000 Euro)



\* in den USA auf dem Markt, in Europa Anfang 2020; \*\* seltene Muskelerkrankung; Quelle: GKV-Spitzenverband, eigene Recherchen

Fragen über die komplexe Herstellung und Verarbeitung zu klären.

Michaels Familie kämpft nun darum, dass auch andere betroffene Familien bereits vorher Zugang zu dem Medikament bekommen – und richtet einen entsprechenden Appell an die Zulassungsbehörde.

Tatsächlich ist Michael wohl schon bald nicht mehr das einzige Kind, das Zolgensma vorab bekommt. Die Familie eines kleinen Jungen aus Sachsen tritt mithilfe eines Anwalts inzwischen erfolgreich für eine Zolgensma-Therapie. Die Krankenkasse der Familie, die AOK Plus, hat inzwischen zugesagt, die Kosten zu übernehmen. Bald wird an der Uniklinik in Dresden die Behandlung beginnen.

Koste es, was es wolle.

Zoff um Mäuse

Eine Panne überschattete den Start von Zolgensma in den USA.

TEXT JULIAN HEISSLER, JÜRGEN SALZ

Einer der Ersten, der das Mittel Zolgensma in den USA erhielt, war der kleine Matteo aus Miami. 2015 war das, im Rahmen einer Studie. Matteo war da gerade mal 27 Tage alt und litt an der Muskelkrankheit SMA, die zu Lähmungen und zum Tod führen kann.

Seit dem 24. Mai ist das teuerste Medikament der Welt in den USA nun auch offiziell zugelassen. Der Start verlief etwas holprig. Die US-Zulassungsbehörde FDA zeigte sich im Nachhinein irritiert über Novartis und den Zolgensma-Erfinder Avexis. Denn im August wurde bekannt, dass bestimmte Daten aus Produkttests an etwa 50 Labormäusen manipuliert waren.

Dass die Angaben unkorrekt waren, hatte Avexis zwar schon bemerkt, als die Zulassung für Zolgensma noch lief. Allerdings informierte das Unternehmen die Behörde erst einen Monat später – nach der Zulassung. Die FDA rügte dieses Verhalten in einer offiziellen Verlautbarung. Weil die unkorrekten Daten jedoch für die Zulassung nicht verwendet wurden, blieb es bei der Missfallensbekundung.

Der Wirkung von Zolgensma hat der Pflusch im Labor keinen Abbruch getan. Matteo habe das Mittel gut vertragen und seine Krankheit bis auf Weiteres besiegt, sagt seine Mutter Nicole Almeida. Von anderen Eltern, mit denen sie in Kontakt steht, höre sie, dass sich der Zustand von deren Kindern gebessert habe.

Trotz des hohen Preises sind mittlerweile die meisten US-Versicherer bereit, die Kosten zu übernehmen. Um ihnen die Entscheidung zu erleichtern, bietet Novartis Rabatte an und zahlt einen Teil zurück, falls die Therapie innerhalb von fünf Jahren „negative Resultate“ erzielt. Im dritten Quartal setzte Novartis mit Zolgensma 160 Millionen Dollar um – mehr als von Analysten erwartet. Novartis-Strategievorstand Stephen Moran glaubt, dass „Zolgensma ein Blockbuster mit einem Spitzenumsatz von mehr als einer Milliarde Dollar pro Jahr“ wird. Zolgensma sei „etwas völlig Neues“. Eine einzige Spritze sei für Patienten extrem wertvoll. Und wohl auch für das Unternehmen.