

Pressemitteilung

Bekanntgabe der Gründung der europäischen Allianz für Neugeborenen-Screening auf spinale Muskelatrophie („European Alliance for Newborn Screening in Spinal Muscular Athrophy“, SMA NBS Alliance): Eine neue Perspektive für Neugeborene mit SMA

Veröffentlichungsdatum

31. August 2020, 16.00 Uhr

Verfasser

SMA NBS Alliance

Eine neue Perspektive für Neugeborene mit SMA

Am 31. August 2020 und damit am letzten Tag des SMA-Monats freut sich SMA Europe die Gründung einer neuen europäischen Allianz zum Screening von Neugeborenen („Alliance for Newborn Screening“, NBS) auf spinale Muskelatrophie (SMA) bekanntzugeben.

Die wesentlichen Ziele der Allianz bestehen darin, mithilfe des Neugeborenen-Screenings die Zeit zu verkürzen, innerhalb derer ein Kind, das mit spinaler Muskelatrophie geboren wird, eine Diagnose erhält sowie Patientenorganisationen bei ihrem Engagement zu unterstützen, den Prozess der Identifizierung dieser Kinder zu beschleunigen. Denn eine frühe Diagnose und Behandlung von spinaler Muskelatrophie führt zu einem besseren Therapieergebnis.

Die frühe Erkennung und Diagnose kann für ein Neugeborenes mit einer schweren Form der SMA den Unterschied zwischen Leben und Tod bedeuten.

Um sich für das Screening von Neugeborenen auf SMA in Europa einzusetzen, hat SMA Europe diese Allianz gegründet. Sie bringt alle Stakeholder zusammen, die diese Vision teilen und die bereit sind, gemeinsam daran zu arbeiten, sie Wirklichkeit werden zu lassen.

Gründungsmitglieder dieser Allianz sind die 19 nationalen SMA-Patientenorganisationen, die Teil von SMA Europe sind, sowie EURORDIS - Rare Diseases Europe, die European Alliance of Neuromuscular Disorders Associations, TREAT-NMD und die Unternehmen AveXis, Biogen und Roche.

Was plant die europäische Allianz für Neugeborenen-Screening auf SMA?

Die Allianz fordert, dass Screening-Programme für Neugeborene in Europa bis 2025 einen Test auf spinale Muskelatrophie für alle Kinder nach der Geburt enthalten.

Dafür werden sich die Mitglieder der Allianz mit einer Reihe von Aktivitäten stark machen, darunter die Erstellung eines Whitepapers über Neugeborenen-Screening auf SMA, welches wissenschaftliche Belege zusammenträgt, die die Notwendigkeit der Einbeziehung von SMA in nationale Screening-Programme für Neugeborene unterstützen.

Außerdem werden die Allianzmitglieder Aktivitäten in ihren jeweiligen Ländern organisieren, um Gesundheitsbehörden dazu aufzufordern, die Aufnahme von SMA-Tests in Screening-Programme für Neugeborene zu evaluieren.

Über SMA

Die spinale Muskelatrophie (SMA) ist eine seltene, fortschreitende, neuromuskuläre Krankheit, die zu Bewegungsunfähigkeit und bei vielen Kindern, bei denen die Krankheit diagnostiziert wird, zu einer kurzen Lebenserwartung führt. SMA tritt, je nach Land, ungefähr bei einem von 8.000 Kindern auf.

Obwohl es eine seltene Erkrankung ist, stellt SMA, wenn sie unbehandelt bleibt, die häufigste genetisch-bedingte Todesursache bei Kindern und Säuglingen dar. Bei SMA kommt es zu einem Verlust von Nervenzellen, sogenannte Motoneuronen, die die Muskeln kontrollieren.

Einmal verloren, können Motoneuronen sich nicht regenerieren. 50-60% der Kinder, die mit SMA geboren werden, können niemals selbstständig aufrecht sitzen und werden ohne eine Therapie nicht älter als zwei Jahre.

Es gibt keine Heilung für SMA, aber zum jetzigen Stand, im August 2020, gibt es in Europa zwei zugelassene Therapien, die die Motoneuronen erhalten können. Daher ist die frühestmögliche Behandlung ein zentrales Thema für Säuglinge mit SMA und deren Familien.

Über Neugeborenen-Screenings

Neugeborenen-Screening („newborn screening“, NBS) ist das programmatische Testen aller Säuglinge in ihren ersten Lebenstagen auf bestimmte Krankheiten, für die es Therapien gibt, die klinisch aber schwierig oder unmöglich erkennbar sind. So kann man die Patienten identifizieren, bevor die ersten Symptome auftreten.

Nationale Screening-Komitees überprüfen regelmäßig deren Empfehlungen zum Screening von unterschiedlichen Krankheiten unter Berücksichtigung neuester Forschungsergebnisse und verfügbarer Belege. Wir hoffen, dass nach den Markteinführungen der neuen Therapien nun die Überarbeitungen stattfinden und nach den neuen Anwendungen die aktualisierten Leitfäden über Länder hinweg ausgerollt werden und SMA in Neugeborenen-Screening aufgenommen wird.

Durch Neugeborenen-Screenings können Kindern mit SMA behandelt werden, bevor Motoneuronen zerstört werden. Dadurch haben sie eine Chance auf ein normales Leben.

Für weitere Informationen besuchen Sie bitte:

<https://www.sma-europe.eu/opening-a-new-horizon-for-children-born-with-sma/>

Kontakt:

SMA Europe Koordinatorin

Vanessa Christie-Brown: vanessa@sma-europe.eu

und

Alliance Sekretariat – admedicum

Rob Pleticha: robert.pleticha@admedicum.com