

• Media Release • Persbericht • Communiqué de presse•

19 September 2019 - Our first thoughts are with Pia and her family and we understand their wish for the best possible outcome for their child, as all parents would want. This must be an extremely difficult time for them and they have moved mountains for their child. With regards to the specific case of baby Pia, we want to clarify that we cannot comment individual patient cases. Only treating physicians can comment on patients and the potential use of any treatment option.

AVXS-101 (known as Zolgensma® - onasemnogenic abeparvovec-xioi) is currently not approved outside of the US. However, we are in constant dialogue with regulatory authorities and government bodies to find solutions for early access for all our innovative treatments for patients who can benefit from them. Yet this is a very complex process, involving many different stakeholders. AVXS-101 is a one-time gene therapy and as all cell & gene therapies, has the potential to transform medicine. This means that with this type of treatment we are able to address major unmet medical needs and give hope to patients for a better life.

In the U.S., AVXS-101 was priced cost-effectively based on our analysis of the treatment as a one-time transformative therapy for an ultra-rare disease. These include, but are not limited to, the 10-year current cost of chronic SMA therapy.

One-time cell and gene therapies introduce a number of new challenges in diagnosis, treatment, care and payment. Healthcare systems need to find new ways to organize care and provide coverage for treatments that provide a lifetime of benefits. We are collaborating with governments, hospitals, doctors and payers to support rapid diagnosis and the use of cell and gene therapies when appropriate.

Our innovative industry is only at the beginning of the journey bringing cell and gene therapies to patients. As an industry, we are committed to maintaining and intensifying an open dialogue with all stakeholders, to find solutions together to bring new therapies to patients who can benefit in Belgium and elsewhere.

Our purpose is to help patients. We do this by discovering and developing breakthrough treatments and finding new ways to deliver them to as many people as possible. This also implies that we engage with all relevant stakeholders to prepare our society for this complete change in the way we treat and help patients.

19 september 2019 – Onze gedachten gaan uit naar Pia en haar familie en we begrijpen dat zij, net zoals alle ouders, het beste willen voor hun kind. Dit moet een extreem moeilijke periode zijn voor hen en ze hebben bergen verzet voor hun kind. Wat betreft de situatie van baby Pia, willen wij verduidelijken dat wij geen commentaar kunnen geven over individuele patiënten. Enkel behandelende artsen mogen toelichting geven m.b.t. hun patiënten en de mogelijke toepassing van eender welke behandelingsoptie.

AVXS-101 (gekend als Zolgensma® - onasemnogenic abeparvovec-xioi) is momenteel niet goedgekeurd buiten de VS. We zijn echter continu in dialoog met de regelgevende autoriteiten en overheidsorganen om oplossingen te vinden voor snelle toegang tot al onze innovatieve behandelingen voor patiënten die hier baat bij hebben. Desalniettemin is dit een zeer complex proces, waarbij verscheidene partijen betrokken zijn. AVXS-101 is een éénmalige gentherapie en heeft, zoals alle cel- en gentherapieën - het potentieel om de geneeskunde te revolutioneren. Dit wil zeggen dat we met dit soort behandelingen

belangrijke, tot nog toe onbeantwoorde, medische noden kunnen beantwoorden en patiënten hoop kunnen geven op een beter leven.

De prijszetting van AVXS-101 in de V.S. is kostenefficiënt en gebaseerd op de analyse van de behandeling als een éénmalige transformatieve therapie voor een extreem zeldzame ziekte. Deze houdt ook rekening met, maar limiteert zich niet tot, de huidige kost voor chronische SMA-therapie verspreid over 10 jaar.

Eénmalige cel- en genterapieën brengen tal van nieuwe uitdagingen met zich mee aangaande diagnose, behandeling, verzorging en betaling. Gezondheidssystemen moeten nieuwe manieren vinden om de zorg te organiseren en om ondersteuning te voorzien voor behandelingen die levenslange voordelen bieden. We werken momenteel samen met overheden, ziekenhuizen, dokters en ziekenfondsen om een snelle diagnose en het gebruik van cel- en genterapieën te ondersteunen waar van toepassing.

Onze innovatieve industrie staat slechts aan het begin van het aanbieden van cel- en genterapie aan patiënten. Als industrie willen we een open dialoog met alle betrokken partijen onderhouden en versterken en zo samen oplossingen vinden om nieuwe therapieën beschikbaar te maken voor patiënten die er baat bij hebben, zowel in België als in andere landen.

Ons doel is om patiënten te helpen. We doen dit door baanbrekende behandelingen te ontdekken en ontwikkelen én nieuwe manieren te vinden om ze zo snel mogelijk tot bij de mensen te brengen. Dit impliceert ook dat we alle relevante partijen betrekken om onze samenleving voor te bereiden op deze compleet nieuwe manier van patiënten te behandelen en helpen.

19 septembre 2019 - Nos premières pensées vont à Pia et à sa famille et nous comprenons leur désir d'obtenir le meilleur pour leur enfant, comme tout parent. Cela doit être une période extrêmement difficile pour eux et ils ont déplacé des montagnes pour leur enfant. En ce qui concerne le cas spécifique du bébé Pia, nous tenons à préciser que nous ne pouvons pas commenter les cas individuels de patients. Seuls les médecins traitants peuvent s'exprimer à propos de leurs patients et l'utilisation potentielle de toute option de traitement.

AVXS-101 (connu sous le nom de Zolgensma® - onasemnogenic abeparvovec-xioi) n'est actuellement pas approuvé en dehors des Etats-Unis. Cependant, nous sommes en dialogue constant avec les autorités réglementaires et les organismes gouvernementaux afin de trouver des solutions pour un accès anticipé à tous nos traitements innovants pour les patients qui peuvent en tirer un bénéfice. Il s'agit néanmoins d'un processus très complexe, impliquant de nombreuses parties prenantes. AVXS-101 est une thérapie génique nécessitant une injection unique et, comme toutes les thérapies cellulaires et géniques, elle a le potentiel de transformer la médecine. Cela signifie qu'avec ce type de traitement, nous sommes en mesure de répondre à d'importants besoins médicaux non satisfaits jusqu'à présent et de donner espoir aux patients pour une vie meilleure.

Aux États-Unis, le prix du AVXS-101 a été établi d'après notre analyse du traitement en tant que thérapie transformative unique pour une maladie ultra rare. Il s'agit, entre autres, du coût sur 10 ans du traitement actuel contre l'AMS chronique.

Les thérapies cellulaires et géniques en une seule injection posent un certain nombre de nouveaux défis en matière de diagnostic, de traitement, de soins et de rémunération. Les systèmes de soins de santé doivent trouver de nouvelles façons d'organiser les soins et de fournir une prise en charge pour les traitements qui sont bénéfique pour les patients à long terme.

Nous collaborons avec les gouvernements, les hôpitaux, les médecins et les mutuelles pour appuyer le diagnostic rapide et l'utilisation de thérapies cellulaires et géniques lorsqu'elles sont appropriées.

Notre industrie innovante n'en est qu'au début du cheminement qui mènera les patients vers les thérapies cellulaires et géniques. En tant qu'industrie, nous nous engageons à maintenir et à intensifier un dialogue ouvert avec toutes les parties prenantes, afin de trouver ensemble des solutions pour apporter de nouveaux traitements aux patients qui peuvent en tirer un bénéfice en Belgique et ailleurs.

Notre but est d'aider les patients. Pour ce faire, nous découvrons et mettons au point des traitements révolutionnaires et trouvons de nouvelles façons de les rendre accessibles au plus grand nombre de personnes possible. Cela implique également que nous nous engageons avec toutes les parties prenantes concernées pour préparer notre société à ce changement dans la manière dont nous traitons et aidons les patients.

If you wish to receive further information, please contact:

Novartis Pharma nv Media Relations

E-mail: press.belgium@novartis.com

Belinda Delys
Communication & Patient Relations Manager
+32 475 95 00 91 (mobile)
belinda.delys@novartis.com

Elke De Blay
Communication Manager
+32 479 33 55 45 (mobile)
elke.de_blay@novartis.com