Pompe Deutschland *Newsletter*

23. November 2026

Inhalt

- Die internationale Dimension des Lieferengpasses bei Myozyme und Nexviadyme

---

Die internationale Dimension des Lieferengpasses bei Myozyme und Nexviadyme

Die weltweiten Lieferprobleme bei den beiden Sanofi-Medikamenten Myozyme (Alglucosidase alfa) und Nexviadyme (Avalglucosidase alfa) sind trotz zwischenzeitlicher Verbesserungen weiterhin nicht vollständig überwunden. Ein aktueller Bericht vom 19. November 2026 (Quelle: CNBC, Consumer News and Business Channel – ein US-amerikanischer Fernsehsender und Medienkonzern für Wirtschafts- und Finanznachrichten) zeigt, dass die Versorgungskrise für Pompe-Patienten in mehreren Ländern nach wie vor konkrete gesundheitliche Folgen hat: Infusionen werden verschoben oder fallen aus, und Patienten müssen mit der Unsicherheit leben, wann sie ihre nächste Behandlung erhalten.

Für Deutschland ergibt sich daraus eine differenzierte Situation: Während sich die Versorgung hierzulande zuletzt deutlich verbessert hat und derzeit vergleichsweise stabil erscheint, ist eine nachhaltige Entwarnung noch nicht möglich. Die globalen Lieferprobleme und die weiterhin bestehenden Schwierigkeiten in der Produktion und Arzneimittelfreigabe betreffen auch die Grundlage der deutschen Versorgung.

Die weltweite Versorgungsknappheit ist noch nicht überwunden

Wie CNBC am 19. November berichtet, bestehen die Lieferprobleme bei Sanofis Pompe-Medikamenten inzwischen seit mehr als drei Monaten. In den USA und anderen Ländern kommt es weiterhin zu erheblichen Einschränkungen. Patienten berichten von abgesagten Infusionsterminen und der Sorge, dass längere Behandlungspausen zu einer Verschlechterung ihres Gesundheitszustands führen könnten.

Besonders deutlich wird die Tragweite am Beispiel der betroffenen Patienten: Eine Patientin, die seit Jahren auf ihre regelmäßigen Infusionen angewiesen ist, musste erneut eine Therapieunterbrechung hinnehmen. Sie beschreibt die Situation als beängstigend, weil die Erkrankung ohne ausreichende Behandlung wieder stärker fortschreiten kann.

Auch Eltern betroffener Kinder sorgen sich um mögliche gesundheitliche Folgen ausgefallener

Infusionen. Gerade bei Kindern ist die kontinuierliche Behandlung von besonderer Bedeutung, um die Krankheitsentwicklung und insbesondere mögliche Schädigungen des Herzens zu begrenzen.

Sanofi zufolge konnten die Lieferungen in einigen Ländern bereits verbessert werden. Für die USA rechnet das Unternehmen allerdings noch bis Ende November mit möglichen Unterbrechungen aufgrund von Lieferverzögerungen.

Das Unternehmen betont, dass keine Qualitätsprobleme mit den Medikamenten selbst vorlägen. Vielmehr seien Schwierigkeiten in den Herstellungs- und Bereitstellungsprozessen sowie regulatorische Anforderungen für die anhaltenden Lieferprobleme verantwortlich. Die US-amerikanische Arzneimittelbehörde FDA hat erklärt, dass die Sicherstellung des Patientenzugangs zu diesen Therapien Priorität habe.

Die internationale Patientencommunity kritisiert insbesondere, dass Patienten und Angehörige teilweise zu spät oder nicht ausreichend über die drohenden Versorgungsprobleme informiert wurden. Zudem wird deutlich, dass kaum Ausweichmöglichkeiten bestehen, wenn die Versorgung mit einem lebensnotwendigen Arzneimittel nicht gewährleistet ist.

Ursachen liegen in der internationalen Produktions- und Lieferkette

Das zentrale Problem liegt nicht in einem Mangel des eigentlichen Wirkstoffs. Vielmehr kommt es zu einem Engpass bei der abschließenden Herstellung, Qualitätskontrolle und Freigabe der Medikamente am Sanofi-Standort Waterford in Irland.

Dieser Standort ist für die europäische Versorgung besonders relevant: Er ist laut den Produktinformationen der Europäischen Arzneimittel-Agentur (EMA) unter anderem für die Chargenfreigabe von Myozyme und Nexviadyme verantwortlich.

Im Januar 2026 führte die US-amerikanische FDA eine Inspektion des Werks durch. Im Juni folgte ein sogenannter Warning Letter, in dem Mängel bei Qualitätssicherungssystemen und Dokumentation beanstandet wurden.

Die daraufhin verstärkten Kontrollen und zusätzlichen Dokumentationsanforderungen verlangsamen nach Angaben Sanofis die Freigabe der fertigen Medikamente. Obwohl ausreichend Wirkstoff vorhanden sein soll, kann dieser somit nicht schnell genug in verwendbare und für die Auslieferung freigegebene Arzneimittel überführt werden. Da Waterford Teil einer internationalen Produktions- und Lieferkette ist und auch Medikamente für den europäischen Markt freigibt, wirken sich die Verzögerungen unmittelbar auf die Versorgung in Deutschland aus. Ausschlaggebend sind unter anderem:

- Die vorhandenen Lagerbestände und bereits erfolgten Lieferungen.
- Die Zahl der zu versorgenden Patienten und der jeweilige Medikamentenbedarf.
- Die nationalen Vertriebs- und Verteilungsstrukturen.
- Die Verfügbarkeit und Freigabe neuer Chargen.

Eine Verbesserung der Versorgung in einem Land bedeutet deshalb nicht automatisch, dass sich auch die Situation in anderen Ländern normalisiert hat.

Deutliche Entspannung in Deutschland, aber noch keine nachhaltige Entwarnung

Die Situation in Deutschland unterscheidet sich derzeit deutlich von den im CNBC-Bericht geschilderten Problemen in den USA. Während dort Patienten weiterhin von abgesagten Infusionen berichten, geht die deutsche Task Force aktuell davon aus, dass der Bedarf

grundsätzlich gedeckt werden kann. Diese positive Entwicklung sollte allerdings nicht mit einer vollständigen Normalisierung verwechselt werden.

Die Versorgungssituation hat sich seit dem Beginn des Engpasses im Sommer 2026 schrittweise verbessert. Nach dem aktuellen Stand vom 17. November 2026 kann der Bedarf an Myozyme gedeckt werden. Die Versorgung in Deutschland kann als vorerst gesichert eingeschätzt werden. Bei Nexviadyme ist die Situation noch nicht vollständig entspannt, aber weitere Lieferungen sind angekündigt. Nach Einschätzung der deutschen Task Force dürfte damit auch für Nexviadyme eine ausreichende Versorgung bis ins kommende Jahr hinein möglich sein. Allerdings muss Nexviadyme weiterhin sorgfältig kontingentiert werden. Einzelne Unterbrechungen können nicht vollständig ausgeschlossen werden.

Die Entwicklung der vergangenen Wochen zeigt, wie schnell sich die Versorgungssituation durch verzögerte Lieferungen oder Chargenfreigaben verändern kann.

Schlussfolgerungen

- **Die deutsche Versorgung bleibt von internationalen Produktionsproblemen abhängig.**
  Auch wenn Deutschland derzeit vergleichsweise gut versorgt ist, hängt die weitere Verfügbarkeit von Myozyme und Nexviadyme maßgeblich davon ab, wie schnell Sanofi die Produktions-, Qualitätskontroll- und Freigabeprozesse in Waterford stabilisieren kann. Neue Lieferungen können die Situation kurzfristig verbessern. Solange die Produktionskapazitäten und Lagerbestände jedoch nicht wieder ausreichend aufgebaut sind, bleibt die Versorgung anfällig für Verzögerungen.
- **Auch deutsche Patienten brauchen weiterhin verlässliche Informationen und Planungssicherheit.**
  Die internationalen Erfahrungen zeigen, wie belastend kurzfristig abgesagte Infusionen und fehlende Informationen für Betroffene und Angehörige sind. Für Menschen mit Morbus Pompe ist die regelmäßige Enzymersatztherapie ein wesentlicher Bestandteil der Behandlung. Therapieunterbrechungen können gesundheitliche Auswirkungen haben. Deshalb sind eine frühzeitige Kommunikation zwischen Sanofi, Behandlungszentren, Apotheken und Patienten sowie verlässliche Informationen über kommende Lieferungen besonders wichtig.
- **Eine nachhaltige Versorgung erfordert ausreichende Sicherheitsbestände.**
  Zunächst müssen genügend Medikamente produziert und freigegeben werden, um den laufenden Bedarf zu decken. Erst danach können die zuvor aufgebrauchten Sicherheitsbestände entlang der internationalen Lieferkette wieder aufgebaut werden. Gerade für Patienten mit einer seltenen, chronischen Erkrankung darf eine stabile Versorgung nicht davon abhängen, ob die nächste Lieferung rechtzeitig eintrifft. Solange die Produktion nicht nachhaltig stabilisiert ist und ausreichende Sicherheitsbestände wieder aufgebaut sind, bleiben weitere Lieferverzögerungen und vereinzelte Therapieunterbrechungen möglich.
- **Es ist unverändert erforderlich, die weitere Entwicklung engmaschig zu beobachten, transparent über Veränderungen zu informieren und gemeinsam mit den behandelnden Pompe-Zentren die kontinuierliche Versorgung aller Patienten sicherzustellen.**

Quellen

- CNBC: As Sanofi's Pompe drug shortage drags on, patients struggle to get treatments (19.11.2026)
- Pompe Deutschland e.V.: Update zum Lieferengpass von Myozyme und Nexviadyme in

Deutschland (aktualisiert am 17.11.2026)
- International Pompe Association: Global supply constraints continue for Sanofi's Pompe therapies (08.08.2026)

Redaktioneller Hinweis

Die deutsche Versorgungseinschätzung basiert auf den Updates von Pompe Deutschland, zuletzt vom 17. November 2026. Die internationalen Erfahrungen und Hintergründe werden durch den CNBC-Bericht vom 19. November sowie die ergänzenden Informationen der International Pompe Association eingeordnet. Die Zusammenstellung der Informationen erfolgte unter Zuhilfenahme künstlicher Intelligenz (ChatGPT).

Autor: Thomas Schaller

Über diesen Newsletter

Der Newsletter wird von Pompe Deutschland in unregelmäßigen Abständen herausgegeben und ist unter https://www.mpompe.de/newsletter verfügbar.

Alle Beiträge dienen der Information, stellen keine Werbung dar und sind nicht als individuelle Beratung zu verstehen. Pompe Deutschland bewertet, bevorzugt oder empfiehlt keine Behandlungen, Therapien, Produkte, Organisationen oder Unternehmen. Durch die Nennung eines Unternehmens machen wir uns nicht automatisch Angebote oder Aussagen des Unternehmens zu eigen. Für Fragen der individuellen medizinischen Versorgung sollten grundsätzlich die behandelnden Ärzte konsultiert werden.

Die Verwendung von Texten dieses Newsletters ist mit Quellenangabe für nichtkommerzielle Zwecke erlaubt; diese Zustimmung gilt nicht für Textbestandteile, für die eine externe Quelle angegeben ist. Eine weitergehende Nutzung von Texten sowie die Verwendung von Bildern, anderen Medien und des Vereinslogos erfordern die vorherige ausdrückliche Zustimmung der Rechteinhaber.

Pompe Deutschland e.V. | www.mpompe.de | www.facebook.com/pompedeutschland | Kontakt