

 Medexpress, 2021-03-09 13:25

SMA: Terapia genowa będzie dostępna w Wielkiej Brytanii



Thinkstock/GettyImages

Lek Zolgensma stosowany w leczeniu dzieci z rzadkim i często śmiertelnym zaburzeniem zwyrodnieniowym, jakim jest rdzeniowy zanik mięśni, będzie po raz pierwszy dostępny w ramach brytyjskiej publicznej opieki zdrowotnej (NHS).

8 marca Brytyjski Narodowy Instytut Doskonałości w Zdrowiu i Opiece (NICE) opublikował rekomendację, zgodnie z którą refundacją będą objęte dzieci w 3 kategoriach: niemowlęta z SMA typu 1 w wieku do 6 miesięcy; niemowlęta z SMA typu 1 w wieku 7-12 miesięcy, które w następstwie leczenia terapią genową mają co najmniej 70 proc. szans osiągnąć umiejętność samodzielnego siedzenia, a także warunkowo niemowlęta przedobjawowe – do momentu udostępnionych zaktualizowanych danych z badania klinicznego SPR1NT. Do leczenia będzie dzieci kwalifikował multidyscyplinarny zespół lekarski na podstawie ścisłych kryteriów.

W ramach refundacji prawdopodobnie około 80 niemowląt skorzysta z tego leczenia. Leczenie obejmie dzieci z najcięższą postacią choroby wyniszczającej mięśnie – SMA typu 1.

Jednorazowe podanie leku i zastępuje funkcję wadliwego genu SMN1 i wytwarza białka niezbędne do ruchu mięśni i funkcjonowania nerwów. Dzięki temu terapia zatrzymuje postęp choroby, która nieleczona powoduje utratę ruchu, osłabienie mięśni i paraliż, i jest główną genetyczną przyczyną śmierci niemowląt.

SMA występuje raz na 10 000 żywych urodzeń. Każdego roku w Anglii rodzi się 65 dzieci z tą chorobą, z czego u 60 proc. rozpoznaje się typ 1. Obecnie NHS prowadzi szybką procedurę wdrożenia leku i stara się określić, które specjalistyczne placówki będą mogły podawać lek.

Źródło: mat. prasowe